

Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca Scientifica e Tecnologica

Rendiconto di assegnazione risorse 5 per mille ANNO 2019

Contributo percepito € 3.652.512,71

Enti della Ricerca Sanitaria

Istituto beneficiario del contributo 5x1000: IRCCS ISTITUTO GIANNINA GASLINI

Num. Prog.	Titolo del progetto	Fondi 5x1000 assegnati al progetto	Data indicativa di inizio progetto	Data fine
1	Approccio multiomico per identificare un comune difetto biochimico a tutte le aplasie midollari	€ 341.366,70	01/01/2022	31/12/2025
2	Approcci di medicina personalizzata per il trattamento delle malattie rare: una piattaforma funzionale per agire sui meccanismi patogenetici mediante il riposizionamento dei farmaci	€ 185.043,44	01/01/2022	31/12/2025
3	Medicina riabilitativa personalizzata e di precisione nell'ictus pediatrico: trial clinico randomizzato con esplorazione funzionale delle vie motorie	€ 207.788,43	01/01/2022	31/12/2025
4	Evoluzione nella caratterizzazione omica delle analisi in single cell	€ 311.682,64	01/01/2022	31/12/2025
5	Analisi dei sistemi di comunicazione inter-organo tramite esosomi circolanti. Applicazione alla diagnostica e prevenzione delle principali patologie umane cistiche e tumorali	€ 341.366,70	01/01/2022	31/12/2025
6	Sviluppo di nuovi approcci terapeutici per il trattamento di pazienti pediatrici affetti da patologie infiammatorie intestinali (malattia di Crohn fistolizzante) refrattarie a farmaci convenzionali	€ 341.367,00	01/01/2022	31/12/2025
7	Sviluppo di un modello integrato per la predizione del decorso e dell'outcome dell'artrite idiopatica giovanile ana-positiva ad esordio precoce	€ 304.261,62	01/01/2022	31/12/2025
8	Nuove strategie di supporto all'insufficienza midollare post-trapiantologica e nelle insufficienze midollari congenite ed acquisite	€ 415.576,85	01/01/2022	31/12/2025
9	GASLINI genome-editing lab: sviluppo di una piattaforma cellulare avanzata per lo studio di malattie genetiche	€ 400.734,82	01/01/2022	31/12/2025
10	Multi-componenti anticorpali tardive nelle glomerulonefriti primitive ed autoimmuni: dalla caratterizzazione con pannelli peptidici ad alta intensità allo sviluppo di tecniche ELISA per validazione ed applicazione clinica	€ 237.472,49	01/01/2022	31/12/2025
11	Caratterizzazione genomica di campioni tumorali di pazienti affetti da neoplasie solide recidivati o refrattari o ad alto rischio	€ 192.946,00	01/01/2022	31/12/2025
12	BoMuKid e fragilità ossea: gruppo di studio osso-muscolo-rene	€ 372.906,02	01/01/2022	31/12/2025

TOTALE € 3.652.512,71



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale dell’IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Titolo del progetto: Approccio multiomico per identificare un comune difetto biochimico a tutte le aplasie midollari

Codice: 5M-2019-23680411

Abstract dei risultati ottenuti:

Introduzione: L’anemia aplastica (AA) è una patologia caratterizzata dalla riduzione nella produzione delle cellule del sangue nel midollo osseo (MO). L’AA può essere di origine genetica o idiopatica. In età pediatrica, le AA di origine genetica rappresentano circa il 25-30 % del totale e di esse le più frequenti sono l’anemia di Fanconi (FA) e la sindrome di Shwachman (SDS). FA è caratterizzata da un difetto di riparazione del DNA mentre SDS è dovuta a un difetto nella formazione dei ribosomi, organelli cellulari deputati alla produzione delle proteine. Entrambe le patologie sono inoltre caratterizzate da un difetto mitocondriale che comporta un elevato stress ossidativo delle cellule del MO. Scopo di questo progetto è l’identificazione, mediante metodiche di multiomica, di vie molecolari comuni alla base delle varie forme di aplasia midollare in modo da individuare nuovi target terapeutici che limitino e/o interrompano il depauperamento del MO. La multiomica è rappresentata da un ampio numero di discipline biomolecolari che permettono lo studio di numerosi fattori – geni, proteine, miRNA, ecc – analizzati poi attraverso studi di bioinformatica.

Metodologie e risultati ottenuti:

È stata comparata l’espressione dei miRNA (micro RNA che regolano l’espressione di numerosi geni) nelle cellule di pazienti con FA con in quelle di donatori sani. Inoltre, in cellule di pazienti con AA, FA e SDS, è stato studiato il profilo di metilazione che rappresenta una caratteristica epigenetica che regola l’espressione dei geni la cui analisi, attraverso programmi di bioinformatica, può evidenziare i geni che sono diversamente metilati (e quindi espressi) sull’intero genoma dei vari gruppi di pazienti.

I risultati ottenuti hanno validato la diversa espressione dei miRNA nel MO dei pazienti FA rispetto a quello di donatori sani (1). In particolare, è stato studiato più approfonditamente il miRNA-29a-3p ed è stato dimostrato che è in grado di correggere il fenotipo delle cellule FA

riducendo il danno al DNA e lo stress ossidativo (2). Lo studio del profilo di metilazione è attualmente fase di validazione tramite l'analisi bioinformatica.

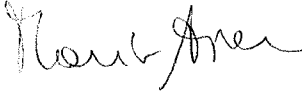
Infine, altri studi di genomica hanno inoltre permesso di determinare possibili cause molecolari in pazienti con altre forme di insufficienza midollare e citopenia (3, 4).

Conclusioni: Il nostro studio ha messo in evidenza che il miRNA29a-3p può rappresentare un potenziale approccio terapeutico utilizzabile in futuro per FA, mentre il profilo di metilazione ci potrebbe permettere di capire quali vie molecolari sono attivate nei pazienti rispetto ai controlli sani e suggerire quindi ulteriori nuovi spunti per nuove terapie farmacologiche.

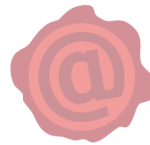
Data 21/01/2026

Il Responsabile del Progetto

Dott. Maurizio Miano



Il Legale Rappresentante



RENATO
ALBERTO
MARIO Botti
18.03.2026
13:02:03
GMT+01:00

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale dell’IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Titolo del progetto: Approcci di medicina personalizzata per il trattamento delle malattie rare: una piattaforma funzionale per agire sui meccanismi patogenetici mediante il riposizionamento dei farmaci (5M-2019-23680413)

Abstract dei risultati ottenuti:

Solo il 5% delle circa 7.000 malattie rare identificate ad ora dispone di terapie. Dato il limitato interesse industriale, il riposizionamento di farmaci è una risorsa cruciale. Sfruttando microscopia confocale e machine-learning per l'analisi di fenotipi complessi, il nostro gruppo ha applicato saggi fenotipici avanzati per identificare piccole molecole capaci di correggere i difetti molecolari alla base di diverse condizioni genetiche.

Metodologie e risultati ottenuti Utilizzando modelli *ex vivo* di epitelio nasale e sistemi eterologhi, abbiamo caratterizzato varianti rare di CFTR associate a fibrosi cistica. Per la mutazione N1303K, è stato dimostrato un recupero funzionale tessuto-specifico con Kaftrio, ulteriormente potenziato dall'Apigenina. Le varianti orfane L1065P e R1066C hanno mostrato un recupero dell'attività del 25-45% con Kaftrio in cellule primarie. Per la variante complessa CFTRdele2ins182, precedentemente ritenuta "nulla", sono stati identificati trascritti alternativi con funzione residua recuperabile farmacologicamente. Per la CIPO, l'analisi di *high-content imaging* ha validato l'anisotropia del citoscheletro come biomarcatore robusto di malattia. Infine, per la sindrome AHDS, sono stati generati con successo dei nuovi modelli cellulari esprimenti varianti di MCT8 e un pannello di saggi per screening farmacologico basato su *high-content imaging* e è stato completato un primo screening pilota di molecole che regolano la proteostasi cellulare.

Conclusione I risultati confermano l'efficacia dei modelli personalizzati nel predire la risposta clinica, permettendo di risolvere discrepanze fenotipiche (come per N1303K-CFTR) e di riclassificare varianti genetiche complesse (quali CFTRdele2ins182 e S737F di CFTR), ampliando l'eleggibilità ai trattamenti. L'identificazione di nuovi biomarcatori cellulari per CIPO e target molecolari per ADLD pone le basi per future strategie terapeutiche. La produzione scientifica del

periodo testimonia il forte impatto traslazionale del lavoro svolto.

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto):

Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate

Pranke I, Capurro V, Chevalier B, Pesce E, Tomati V, Pastorino C, Kelly-Aubert M, Hatton A, Dreano E, Lena M, Bocciardi R, Zara F, Pantano S, Terlizzi V, Lucanto C, Costa S, Claut L, Daccò V, Poli P, Maschio M, Fabrizzi B, Caporelli N, Cipolli M, Volpi S, Chedeveergne F, Cosson L, Macey J, Ramel S, Weiss L, Grenet D, Le Clainche-Viala L, Douvry B, Ravoninjatovo B, Audousset C, Tatopoulos A, Richaud-Thiriez B, Baravalle M, Thouvenin G, Labbé G, Mittaine M, Reix P, Durieu I, Mankikian J, Bui S, Nguyen-Khoa T, Khoukh K, Martin C, Da Silva J, De Carli P, Castellani C, Cresta F, Galietta L, Guillemaut A, Girodon E, Remus N, Bulcaen M, Ensinnck M, Zajac M, Carlon M, LeBihan J, Burgel PR, Sermet-Gaudelus I, Hinzpeter A, Pedemonte N. Beyond Trikafta: new models to assess tissue dependent rescue of N1303K-CFTR. *Front Pharmacol.* 2025 Oct 29;16:1661417. doi: 10.3389/fphar.2025.1661417.

Pastorino C, Menta L, Pesce E, Lena M, Tomati V, Capurro V, Di Duca M, Terlizzi V, Gramegna A, Blasi F, Castellani C, Cappato S, Zara F, Pedemonte N, Bocciardi R. Alternative splicing and residual function potentially expand the therapeutic landscape of the CFTR~~dele2ins182~~ variant. *PLoS One.* 2025 Sep 16;20(9):e0330974. doi: 10.1371/journal.pone.0330974.

Pesce E, Tomati V, Capurro V, Lena M, Pastorino C, Astore M, Kuyucak S, Chevalier B, Sondo E, Cresta F, Dighero A, Terlizzi V, Fevola C, Costa S, Lucanto MC, Daccò V, Claut L, Ficili F, Fabrizzi B, Bocciardi R, Zara F, Castellani C, Galietta LJV, Waters SA, Hinzpeter A, Pedemonte N. In silico, in vitro and ex vivo characterization of cystic fibrosis transmembrane conductance regulator pathogenic variants localized in the fourth intracellular loop and their rescue by modulators. *Br J Pharmacol.* 2025 Dec;182(24):6063-6080. doi: 10.1111/bph.70176.

Lunaccio D, Allegretta C, Pesce E, Scarano N, Vinci V, Salis A, Tasso B, Brullo C, Capitanio N, Piccoli C, Pedemonte N, Cichero E, Millo E, Laselva O. Structure-guided combination of novel CFTR correctors to improve the function of F508del-CFTR in airway epithelial cells. *Biochem Pharmacol.* 2025 Oct;240:117127. doi: 10.1016/j.bcp.2025.117127.

Barbieri F, Martina MG, Pesce E, Bianchi E, Cabella N, Crespan E, Rossi S, Gemma S, Campiani G, Milite C, Pepe G, Campiglia P, Sbardella G, Maga G, Cagno V, Pedemonte N, Radi M. Developing Type II F508del-CFTR correctors with a protective effect against respiratory viruses. *Eur J Med Chem.* 2025 Dec 15;300:118098. doi: 10.1016/j.ejmech.2025.118098.

Allegretta C, Montemitro E, Sgobba MN, Capurro V, Pesce E, Ciciriello F, La Bella G, Rossito M, Tuccio V, Arena F, Gunawardena TNA, Guerra L, Pedemonte N, Capitanio N, Piccoli C, Laselva O. Deleterious effect of *Pseudomonas aeruginosa* on F508del-CFTR rescued by elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor is clinical strain-dependent in patient-derived nasal cells. *ERJ Open Res.* 2025 May 27;11(3):00970-2024. doi: 10.1183/23120541.00970-2024.

Pigliasco F, Cafaro A, Barco S, Cresta F, Casciaro R, Pedemonte N, Mattioli F, Castellani C, Cangemi G. A Novel LC-MS/MS Method for the Measurement of Elexacaftor,

Tezacaftor and Ivacaftor in Plasma, Dried Plasma Spot (DPS) and Whole Blood in Volumetric Absorptive Microsampling (VAMS) Devices. *Pharmaceutics*. 2025 Feb 6;17(2):200. doi: 10.3390/pharmaceutics17020200.

Romeo E, Saccoliti F, Ocello R, Andonaia A, Allegretta C, Pastorino C, Pedemonte N, Falchi F, Laselva O, Bandiera T, Bertozzi F. Target Identification with Live-Cell Photoaffinity Labeling and Mechanism of Action Elucidation of ARN23765, a Highly Potent CFTR Corrector. *J Med Chem*. 2025 Feb 27;68(4):4596-4618. doi: 10.1021/acs.jmedchem.4c02654.

Tomati V, Capurro V, Pesce E, Pastorino C, Sondo E, Lena M, Borrelli A, Cresta F, Pantano S, Collini F, Ripani P, Terlizzi V, Fevola C, Costa S, Lucanto MC, Zara F, Bandiera T, Bocciardi R, Castellani C, Galiotta LJV, Pedemonte N. Pharmacological rescue of the G85E CFTR variant by preclinical and approved modulators. *Front Pharmacol*. 2024 Nov 18;15:1494327. doi: 10.3389/fphar.2024.1494327.

Pion A, Kavanagh E, Joynt AT, Raraigh KS, Vanscoy L, Langfelder-Schwind E, McNamara J, Moore B, Patel S, Merlo K, Temme R, Capurro V, Pesce E, Merlo C, Pedemonte N, Cutting GR, Sharma N. Investigation of CFTR Function in Human Nasal Epithelial Cells Informs Personalized Medicine. *Am J Respir Cell Mol Biol*. 2024 Nov;71(5):577-588. doi: 10.1165/rcmb.2023-0398OC.

Okiyoneda T, Borgo C, Bosello Travain V, Pedemonte N, Salvi M. Targeting ubiquitination machinery in cystic fibrosis: Where do we stand? *Cell Mol Life Sci*. 2024 Jun 18;81(1):271. doi: 10.1007/s00018-024-05295-z.

Ciobanu DZ, Liessi N, Tomati V, Capurro V, Bertozzi SM, Summa M, Bertorelli R, Loberto N, Dobi D, Aureli M, Nobbio L, Bandiera T, Pedemonte N, Bassi R, Armirotti A. Tezacaftor is a direct inhibitor of sphingolipid delta-4 desaturase enzyme (DEGS). *J Cyst Fibros*. 2024 Nov;23(6):1167-1172. doi: 10.1016/j.jcf.2024.05.004.

Castagnola V, Tomati V, Boselli L, Braccia C, Decherchi S, Pompa PP, Pedemonte N, Benfenati F, Armirotti A. Sources of biases in the *in vitro* testing of nanomaterials: the role of the biomolecular corona. *Nanoscale Horiz*. 2024 Apr 29;9(5):799-816. doi: 10.1039/d3nh00510k.

Borgo C, D'Amore C, Capurro V, Tomati V, Pedemonte N, Bosello Travain V, Salvi M. SUMOylation Inhibition Enhances Protein Transcription under CMV Promoter: A Lesson from a Study with the F508del-CFTR Mutant. *Int J Mol Sci*. 2024 Feb 15;25(4):2302. doi: 10.3390/ijms25042302.

Brusa I, Sondo E, Pesce E, Tomati V, Gioia D, Falchi F, Balboni B, Ortega Martínez JA, Veronesi M, Romeo E, Margaroli N, Recanatini M, Girotto S, Pedemonte N, Roberti M, Cavalli A. Innovative Strategy toward Mutant CFTR Rescue in Cystic Fibrosis: Design and Synthesis of Thiadiazole Inhibitors of the E3 Ligase RNF5. *J Med Chem*. 2023 Jul 27;66(14):9797-9822. doi: 10.1021/acs.jmedchem.3c00608.

Oliver KE, Carlon MS, Pedemonte N, Lopes-Pacheco M. The revolution of personalized pharmacotherapies for cystic fibrosis: what does the future hold? *Expert Opin Pharmacother*. 2023 Sep-Dec;24(14):1545-1565. doi: 10.1080/14656566.2023.2230129.

Terlizzi V, Pesce E, Capurro V, Tomati V, Lena M, Pastorino C, Bocciardi R, Zara F, Centrone C, Taccetti G, Castellani C, Pedemonte N. Clinical Consequences and Functional Impact of the Rare S737F CFTR Variant and Its Responsiveness to CFTR

Modulators. Int J Mol Sci. 2023 Mar 31;24(7):6576. doi: 10.3390/ijms24076576.

Viti F, Pramotton FM, Martufi M, Magrassi R, Pedemonte N, Nizzari M, Zanicchi FC, De Michele B, Alampi M, Zambito M, Santamaria G, Bajetto A, Sardar S, Tomati V, Gandullia P, Giampietro C, Florio T, Beltrame F, Vassalli M, Ceccherini I. Patient's dermal fibroblasts as disease markers for visceral myopathy. Biomater Adv. 2023 May;148:213355. doi: 10.1016/j.bioadv.2023.213355.

Pigliasco F, Cafaro A, Stella M, Baiardi G, Barco S, Pedemonte N, D'Orsi C, Cresta F, Casciaro R, Castellani C, Calevo MG, Mattioli F, Cangemi G. Simultaneous Quantification of Ivacaftor, Tezacaftor, and Elexacaftor in Cystic Fibrosis Patients' Plasma by a Novel LC-MS/MS Method. Biomedicines. 2023 Feb 20;11(2):628. doi: 10.3390/biomedicines11020628.

Farinha CM, Brodsky JL, Pedemonte N. Fundamental and translational research in Cystic Fibrosis - why we still need it. J Cyst Fibros. 2023 Mar;22 Suppl 1:S1-S4. doi: 10.1016/j.jcf.2022.12.010.

Baldassarri M, Zguro K, Tomati V, Pastorino C, Fava F, Croci S, Bruttini M, Picchiotti N, Furini S, Pedemonte N, Gabbi C, Renieri A, Fallerini C; Gen-Covid Multicenter Study. Gain- and Loss-of-Function *CFTR* Alleles Are Associated with COVID-19 Clinical Outcomes. Cells. 2022 Dec 16;11(24):4096. doi: 10.3390/cells11244096.

Tomati V, Costa S, Capurro V, Pesce E, Pastorino C, Lena M, Sondo E, Di Duca M, Cresta F, Cristadoro S, Zara F, Galletta LJV, Bocciardi R, Castellani C, Lucanto MC, Pedemonte N. Rescue by elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor of the G1244E cystic fibrosis mutation's stability and gating defects are dependent on cell background. J Cyst Fibros. 2023 May;22(3):525-537. doi: 10.1016/j.jcf.2022.12.005.

Fossa P, Uggeri M, Orro A, Urbinati C, Rondina A, Milanese M, Pedemonte N, Pesce E, Padoan R, Ford RC, Meng X, Rusnati M, D'Ursi P. Virtual Drug Repositioning as a Tool to Identify Natural Small Molecules That Synergize with Lumacaftor in F508del-CFTR Binding and Rescuing. Int J Mol Sci. 2022 Oct 14;23(20):12274. doi: 10.3390/ijms232012274.

Data

Il Responsabile del Progetto
Dott. Nicoletta Pedemonte



Nicoletta Pedemonte
15.01.2026 15:23:47
GMT+02:00

Il Legale Rappresentante



RENATO
ALBERTO
MARIO Botti
18.03.2026
13:02:41
GMT+01:00

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Reato Botti Direttore Generale dell’IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Titolo del progetto: Medicina riabilitativa personalizzata e di precisione nell'ictus pediatrico: trial clinico randomizzato con esplorazione funzionale delle vie motorie
Codice: 5M-2019-23680415

Abstract dei risultati ottenuti:

Introduzione

L'ictus ischemico pediatrico rappresenta una delle cause principali di disabilità neurologica a lungo termine nei bambini. L'obiettivo ultimo della medicina riabilitativa è offrire a ogni piccolo paziente il trattamento più efficace, ma per arrivare a una vera "medicina di precisione" è indispensabile prima esplorare e comprendere a fondo come reagiscono le vie motorie dopo il danno. Il nostro cervello possiede una straordinaria capacità di riorganizzarsi (neuroplasticità), governata da un delicato equilibrio tra segnali che "eccitano" e segnali che "inibiscono" i circuiti neuronali. Attraverso questo progetto, ci siamo concentrati proprio sull'esplorazione funzionale di questi meccanismi.

Metodologie e risultati

Utilizzando una tecnica sicura e non invasiva, la Stimolazione Magnetica Transcranica (TMS), abbiamo studiato 36 bambini (di cui 18 con esiti di ictus), misurando un parametro chiamato Periodo Silente Corticale (cSP). Questo indice ci permette di quantificare l'azione del GABA, il principale neurotrasmettitore inibitorio del cervello.

I risultati hanno rivelato una scoperta cruciale: nei bambini nella fase cronica post-ictus, l'inibizione cerebrale risulta marcatamente prolungata (con un valore medio di 0,160 secondi) rispetto ad altre condizioni neurologiche di controllo (come il Disturbo dello Spettro Autistico, fermo a 0,120 secondi). Questo significa che, dopo un ictus, il cervello tende a mantenere un "freno tirato" (un'iper-inibizione maladattiva) che di fatto ostacola la neuroplasticità e il recupero motorio.

Conclusioni

Aver identificato nel parametro cSP un biomcatore così preciso ci permette di compiere il salto decisivo verso il trial clinico: misurare questo "freno" a livello individuale ci consentirà, in futuro, di selezionare e personalizzare le terapie neuromodulatorie e

riabilitative più adatte per ciascun bambino, sbloccando il potenziale di recupero e realizzando a pieno l'obiettivo di una riabilitazione di precisione.

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto) - **Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate:**

- **Cardellicchio P, Bertamino M**, Ronchetti AB, Primavera L, Doglio L, Aiello A, Calcagno A, Usai M, Calevo MG, Pavanello M, **Tacchino C**. Enhancement of postural control and upper limb function following selective dorsal rhizotomy: a retrospectively registered study. Eur J Pediatr. 2025 Sep 3;184(9):589. doi: 10.1007/s00431-025-06388-y. PMID: 40900163.

Il Responsabile del Progetto
Dott.ssa Marta Bertamino



Il Legale Rappresentante
dott. Renato Botti



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
31.03.2026 18:04:41
GMT+02:00

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria
Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini
Codice fiscale: 00577500101
Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE
Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org
Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale dell’IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Titolo del progetto: EVOLUZIONE NELLA
CARATTERIZZAZIONE OMICA DELLE ANALISI IN SINGLE CELL
Codice progetto: 5M-2019-23680417

Abstract dei risultati ottenuti:

Introduzione

Il progetto risponde alla necessità di aggiornare le tecnologie dell'Istituto per lo studio della "singola cellula". Grazie al 5x1000, abbiamo potenziato la nostra Core Facility con uno strumento in grado di analizzare simultaneamente un alto numero marcatori fenotipici per poter isolare popolazioni cellulari sempre più piccole e omogenee. L'obiettivo è stato quello di superare i limiti dei vecchi sistemi citometrici, introducendo una strumentazione d'avanguardia capace di identificare popolazioni cellulari rare e biomarcatori precoci per la medicina personalizzata.

Metodologie e Risultati

L'acquisizione di questa tecnologia è stata il motore di importanti pubblicazioni scientifiche. In ambito oncologico e immunologico, lo strumento ha permesso di identificare precursori emopoietici che, dopo la chemioterapia, contribuiscono alla rigenerazione di cellule immunitarie nel polmone (Frontiers in Immunology 2024). Inoltre, la tecnologia è stata cruciale per individuare candidati terapeutici per la sindrome da ipoventilazione centrale congenita (Mol. Ther. Nucleic Acids) e per studiare le alterazioni immunitarie in pazienti con immunodeficienza comune variabile (CVID) e splenomegalia (Immunol. Lett.). Infine, lo strumento ha supportato la ricerca sulle neuropatie a piccole fibre insorte post-vaccinazione SARS-CoV-2, correlata a specifiche risposte immunitarie. Oltre ai progetti già pubblicati, la strumentazione è attualmente impiegata in diversi progetti PNRR e del Ministero della Salute (come gli studi sull'artrite idiopatica giovanile).

Conclusione

L'introduzione di questa piattaforma tecnologica ha segnato un salto di qualità per l'intero

Istituto, garantendo una purezza d'analisi precedentemente impensabile. I risultati ottenuti, che spaziano dalla neurologia alla pediatria e all'immunoterapia, confermano l'importanza di investire in tecnologie "single cell" per eliminare i margini di errore nelle diagnosi. La trasversalità dell'impiego tra i vari reparti dimostra che il progetto ha creato una risorsa condivisa fondamentale, rendendo la nostra ricerca competitiva a livello internazionale e orientata al beneficio diretto del paziente.

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto):

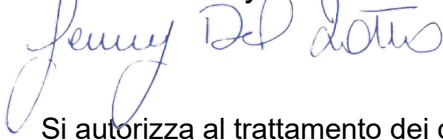
Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate

- Extracellular vesicles in cancer´s communication: messages we can read and how to answer. Semeradtova A, Liegertova M, Herma R, Capkova, Brignole C, **Del Zotto G**. Mol Cancer. 2025 Mar 19; 24(1):86. doi: 10.1186/s12943-025-02282-1. PMID: 40108630. WOS: 001447716800001
- NET Proteomic Profiling Reveals New Pathways Potentially Implicated in Dendritic Cell-Mediated Inflammation in DADA2 Patients. Signa S, MD, Bartolucci M, Bonacini M, Bertoni A, **Del Zotto G**, Corcione A, Petretto A, Della Bella S, Bertelli R, Silvestre D, Lomagno A, Mauri P, Caorsi R, Bruschi M, Balin S, Bocca P, Volpi S, Catanoso MG, Tripodi G, Pellottieri L, Mavilio D, Insalaco A, Croci s, Salvarani C, Gattorno M, Schena F. J Immunol. 2025 Jun 16;45(1):106. doi: 10.1007/s10875-025-01888-w. PMID: 40518491. WOS: 001508488800001.
- Splenomegaly in CVID patients associates with CMV replication and also with decreased NK cell activation and inflammatory precursor circulation, in addition to T cell activation. Contini P, Ivaldi F, Schiavi C; Magnani O, Vassallo C, Guastalla A, Traversone N, Deraco D, Angelini C, **Del Zotto G**, De Palma R, De Maria A. Immunol Lett. 2025 Jul 4:276:107058. doi: 10.1016/j.imlet.2025.107058. PMID: 40619105. WOS: 001529743300001
- Evaluation of attenuated Salmonella Typhimurium (STMΔznuABC) anticancer activity on canine mammary cancer-associated fibroblasts. Chirullo B, Fruscione F, **Del Zotto G**, Dell'Anno F, Tarantino M, Porcellato I, Petrucci, De Ciucis CG, Bufalari A, Cappelli K, Moretti G, Mecocci S, Monti E, De Paolis L, Razzuoli E. Res Vet Sci. 2024 doi: 10.1016/j.rvsc.2024.105438. PMID: 39447298. WOS: 001351296900001.
- Inborn error of WAS presenting with SARS-CoV-2-related multisystem inflammatory syndrome in children. Drago E, Fioredda F, Penco F, Prigione I, Bertoni A, **Del Zotto G**, Bocca P, Massaccesi E, Lanciotti M, Moratto D, Thurner L, Caorsi R, Gattorno M, Volpi S. J Clin Immunol. 2024 Nov 25;45(1):49. doi: 10.1007/s10875-024-01840-4. PMID: 39581942. WOS: 001361923500001.
- CD34⁺DNAM-1^{bright}CXCR4⁺ haemopoietic precursors circulate after chemotherapy, seed lung tissue and generate functional innate-like T cells and NK cells. Perrone C, Bozzano F, Dal Bello MG, **Del Zotto G**, Antonini F, Munari E, Maggi E, Moretta F, Hajabbas Farshchi A, Pariscenti G, Tagliamento, Genova C, Moretta L, De Maria A. *Front. Immunol.* 2024 Feb 8; 15: 133278. doi: 10.3389/fimmu.2024.1332781. PMID: 38390333. WOS: 001171792200001.

Data 23/01/2026

Il Responsabile del Progetto

Dott.ssa Genny Del Zotto



Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
18.03.2026
13:06:33
GMT+01:00



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale dell’IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Titolo del progetto: Analisi dei sistemi di comunicazione inter-organo tramite esosomi circolanti. Applicazione alla diagnostica e prevenzione delle principali patologie umane cistiche e tumorali

Codice: 5M-2019-23680420

Abstract dei risultati ottenuti

Introduzione

Le vescicole extracellulari (EVs) rappresentano oggi uno dei principali sistemi di comunicazione intercellulare e inter-organo. In linea con la più recente letteratura scientifica internazionale, le EVs vengono attualmente classificate in small EVs (sEVs) e large EVs (lEVs), superando la precedente distinzione basata esclusivamente sulla loro origine biogenetica. Le EVs veicolano segnali biologici altamente regolati e svolgono un ruolo chiave nel mantenimento dell’omeostasi e nello sviluppo di condizioni patologiche, tra cui malattie tumorali e cistiche.

Metodologie e risultati

Nel corso del progetto sono state sviluppate e applicate metodiche avanzate per l’isolamento e la caratterizzazione molecolare delle EVs da diversi fluidi biologici, quali sangue, urine e liquor. L’analisi integrata del contenuto proteico e molecolare delle EVs ha dimostrato che costituiscono un’importante fonte di biomarcatori diagnostici e prognostici, utili alla stratificazione dei pazienti e al monitoraggio della progressione di malattie tumorali e cistiche. È stato inoltre evidenziato come le EVs siano in grado di trasferire alle cellule riceventi proteine, acidi nucleici, metaboliti e, in specifici contesti, anche interi organelli funzionali, modulando in modo diretto la funzionalità cellulare e tissutale.

Conclusioni

I risultati ottenuti confermano il ruolo delle EVs non solo come strumenti di diagnostica

non invasiva, ma anche come potenziali presidi terapeutici “cell-free” in ambito rigenerativo e nel trapianto d’organo. La capacità delle EVs di veicolare messaggi biologici complessi e altamente specifici apre nuove prospettive per la prevenzione, la diagnosi precoce e lo sviluppo di strategie terapeutiche innovative non solo nelle principali patologie umane cistiche e tumorali.

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto)

Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate inerenti al progetto

- Perfusate-Delivered MSC-Extracellular Vesicles Drive Anti-Senescence Proteomic Reprogramming in Donor Marginal Human Kidneys. Under revision (senza DOI al momento)
- Extracellular vesicle proteomics in brain solid tumors: future strategy for personalized medicine. Expert Rev Proteomics. 2025. doi: 10.1080/14789450.2025.2514841
- Proteomic Profiling of Cerebrospinal Fluid and Its Extracellular Vesicles from Extraventricular Drainage in Pediatric Pilocytic Astrocytoma, towards Precision Oncology. Cancers (Basel). 2024. doi: 10.3390/cancers16061223
- Identification of Central Nervous System Oncologic Disease Biomarkers in EVs from Cerebrospinal Fluid (CSF) of Pediatric Patients: A Pilot Neuro-Proteomic Study. Biomolecules. 2023. doi: 10.3390/biom13121730
- Extracellular Vesicles as Source of Biomarkers in Glomerulonephritis. Int J Mol Sci. 2023. doi: 10.3390/ijms241813894
- Proteomic analysis of urinary extracellular vesicles of kidney transplant recipients with BKV viruria and viremia. Front Med (Lausanne). 2022. doi: 10.3389/fmed.2022.1028085
- Weighted Gene Co-Expression Network Analysis and Support Vector Machine Learning in the Proteomic Profiling of Cerebrospinal Fluid from Extraventricular Drainage in Child Medulloblastoma. Metabolites. 2022. doi: 10.3390/metabo12080724

Data 13/03/2023

Il Responsabile del Progetto
Dott. Maurizio Bruschi



Il Legale Rappresentante
dott. Renato Botti



RENATO
ALBERTO
MARIO Botti
23.03.2026
17:08:55
GMT+01:00

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/200



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Sviluppo di nuovi approcci terapeutici per il trattamento di pazienti pediatrici affetti da patologie infiammatorie intestinali (malattia di Crohn fistolizzante) refrattarie a farmaci convenzionali

Codice ministeriale: 5M-2019-23680421

Abstract dei risultati ottenuti:

Negli ultimi anni, la ricerca sostenuta dal presente Progetto si è concentrata sulle intricate dinamiche delle terapie avanzate a base di cellule umane primarie come nuova terapia per il trattamento e la risoluzione della fistula perinatale in pazienti con il morbo di Crohn. Questi pazienti spesso sviluppano tali ferite perianali che inficiano grandemente non solo la qualità di vita ma anche le condizioni fisiche e normali attività intestinali. Sin dal loro primo uso nel 2006, le cellule mesenchimali stromali (MSC) e le cellule T regolatorie (Treg) hanno raccolto grande interesse per le loro capacità riparative e immunoregatorie.

Treg: Cellule Treg umane sono state isolate da 6 donatori sani. Trecento (300) milioni di cellule mononucleate, ottenute da preparazioni di buffy coat deplete delle cellule CD19+/CD8+, sono state esposte a procedura di arricchimento delle cellule CD25+. Il numero di Treg isolate è risultato variabile tra 2,4 e 3,6 milioni. Successivamente, le Treg sono state espanse in terreno TexMACS in presenza di microsferi anti-CD3/CD28 (TransAct, Miltenyi) e IL-2 umana ricombinante. Dopo 2-3 giorni, il reagente TransAct è stato rimosso dalla coltura e le cellule sono state mantenute in terreno fresco contenente IL-2. In seguito, il terreno fresco con IL-2 è stato sostituito ogni 3-4 giorni. Al giorno 14, è stato valutato il numero totale di cellule e il fenotipo è stato analizzato mediante citometria a flusso. Il numero di Treg espanse variava da 14,4 a 30 milioni di cellule, con un indice di espansione compreso tra 4 e 12,5. La purezza delle cellule ottenute era tra il 96,4% e il 97,5%. Infine, le Treg sono state congelate e conservate in azoto liquido.

MSC: Come da proposta progettuale, la Cell Factory Gaslini ha testato protocolli pre-GMP atti ad estrarre MSC da cordone ombelicale. Nella prima fase del progetto sono state settate le condizioni di estrazione ed espansione delle UC-MSC ed è stato verificato, mediante test di controllo qualità, se il protocollo utilizzato dà origine a cellule MSC conformi ai criteri riconosciuti per questa tipologia di cellule.

Durante gli ultimi anni, il team della Cell Factory del Gaslini e l'Unità di Terapie Cellulari, di cui la Cell Factory fa parte, hanno condotto meticolose analisi e sperimentazioni al fine di ottimizzare e standardizzare l'isolamento di cellule MSC da cordoni ombelicali di placentate a termine gestazione (UC-MSC). Tali campioni vengono generalmente donati da partorienti sane, a termine della gravidanza e dopo parto mediante incisione cesarea. La raccolta esclusiva di tali campioni, escludendo parti naturali, ha solo fondamenta nelle condizioni di superiore sterilità garantita dalla sala chirurgica.

Negli ultimi 5 anni la Cell Factory ha raccolto e processato, 84 campioni. Ottantaquattro placentate umane sono state raccolte, e processate seguendo le più stringenti regole GMP (*Good Manufacturing Practice*), essenziali alla produzione di terapie ATMP (*Advanced Therapeutic Medicinal Product*).

Il rilascio di cellule MSC è stato inizialmente testato secondo modalità descritte in letteratura scientifica che hanno descritto la fuoriuscita di cellule MSC e la loro espansione *ex vivo*, senza alcuna manipolazione maggiore da parte del personale. Il tessuto, opportunamente sezionato chirurgicamente veniva quindi deposto in piastre di coltura per un tempo di 10-15 giorni, al fine di consentire a cellule MSC di migrare e fuoriuscire da tale tessuto. Un numero di campioni pari a 42 donatori è stato sottoposto a tale procedura, riscontrando però un limitato raccolto cellulare. Le cellule MSC ottenute dovevano necessariamente andare incontro ad un'ulteriore espansione *in vitro*. Tale procedura è stata largamente riportata indurre senescenza e limitare la potenzialità di queste cellule. Al fine di garantire le dosi cellulari richieste nonché una *potency* cellulare adeguata, a tale metodica è stata affiancata e comparata una procedura di isolamento meccanico mediante Dissociatore commercializzato dalla ditta Miltenyi Biotec. Tale strumentazione è stata acquistata dalla Cell Factory e la procedura di isolamento meccanico testato in comparazione con la precedente in 20 campioni.

A seguito di una resa maggiore, ma ancora limitata, è stata effettuata una terza tipologia di isolamento nella quale si prevede l'implementazione di enzimi *ad hoc* da affiancare alla dissociazione meccanica. Questa procedura, più complessa, richiede ovviamente reagenti GMP-grade, ed è stata eseguita in comparazione coi due metodi precedentemente descritti in 22 donatori. La miscela enzimatica utilizzata ha visto diverse formulazioni a base di collagenasi, proteasi e ialuronidasi. Al fine di ottimizzare la miscela enzimatica più idonea a tali scopi, ci si è affidati alla esperienza maturata negli anni attraverso l'isolamento di cellule da altri tessuti umani, nonché mediante l'utilizzo di miscele enzimatica GMP-grade.

Accanto alle analisi di vitalità e raccolto cellulare sui prodotti finiti, la Cell Factory ha anche seguito una completa fenotipica delle UC-MSC, in accordo alle linee guida internazionali ISCT ed eseguita mediante citometria a flusso.

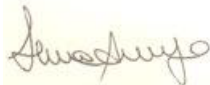
La capacità delle UC-MSC di differenziare in adipociti, osteociti e condrociti è stata valutata in accordo alle linee guida internazionali ISCT. Per escludere la presenza di aberrazioni cromosomiche nelle nostre UC-MSC sottoposte a espansione in vitro, è stata eseguita l'analisi del cariotipo sulle cellule UC-MSC al termine dell'espansione. La possibile tumorigenicità delle nostre UC-MSC è stata valutata mediante il test di generazione di colonie su mezzo semi-solido "soft-agar", il quale rappresenta il "gold standard" per la capacità di trasformazione cellulare in vitro.

Tuttavia, un evento molto rilevante ha generato un importante cambio di rotta ed interruzione dei lavori proposti in questo progetto: il 13 dicembre 2024, la Commissione Europea (EMA) ha ritirato ufficialmente l'autorizzazione all'immissione in commercio di un prodotto a base di MSC per il trattamento della fistola perianale ed il 19 dicembre 2024, l'AIFA ha ratificato tale decisione, stabilendo che nessun nuovo paziente potesse iniziare il trattamento a base di MSC dopo tale data. A fronte di tale forte messaggio, la Cell Factory ha ritenuto non utile procedere con la richiesta all'ente regolatorio Italiano (AIFA) per avere garantito il permesso alla produzione delle MSC.

Parallelamente a questi eventi, è stato pubblicato un nuovo studio, risultato di un trial clinico di fase 1 condotto in Australia, in cui veniva messo in luce le forti potenzialità e meccanismi d'azione cellulari (in parte simili alle MSC) ad opera di un'altra popolazione di cellule presenti nella placenta umana: le cellule epiteliali della membrana amniotica. A fronte dei forti risultati pre-clinici e clinici ottenuti, nonché dell'expertise e competenze presenti all'interno dell'Unità di Terapie Cellulari, si è deciso in comune accordo tra PI e Cell Factory di procedere con l'ottimizzazione della procedura e successiva richiesta all'AIFA per la produzione di queste nuove cellule per la medesima indicazione (fistulöa perinatale in pazienti con morbo di Chron).

Sessanta (60) donatori sono stati testati e la procedura ottimizzata per il trasferimento nella Cell Factory Gaslini. Alla data di completamento del progetto, la Cell factory stava ultimando la documentazione da sottomettere all'AIFA per ottenere il permesso a procedere con tale isolamento e bancaggio di cellule epiteliali amniotiche. Andando a costituire di fatto, la prima banca di cellule epiteliali amniotiche al mondo. Queste cellule hanno generato importanti risultati preclinici (pubblicati da questo gruppo precedentemente) nonché evidenze cliniche riportate dal gruppo australiano, fautore del trial clinico di fase 1, che supportano una forte attività immunomodulatrice ad opera di queste stesse cellule, generando cellule Treg in alta percentuale, che viene quindi a rendere superflua la produzione di queste cellule, come inizialmente proposta, da *third party*.

Il Responsabile del Progetto
Dott.ssa Serena Arrigo



Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
31.03.2026 18:05:43
GMT+02:00

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria
Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini
Codice fiscale: 00577500101
Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE
Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org
Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Sviluppo di un modello integrato per la predizione del decorso e dell'outcome dell'artrite idiopatica giovanile ana-positiva ad esordio precoce
Codice ministeriale: 5M-2019-23680423

Abstract dei risultati ottenuti:

Introduzione: L'oligoartrite è la forma più frequente di artrite idiopatica giovanile (AIG) ed è caratterizzata da un decorso variabile. Sebbene molti pazienti mantengano un fenotipo benigno, fino al 40% può sviluppare un'estensione poliarticolare (pcAIG), che richiede un trattamento più aggressivo. Un'altra complicanza è l'iridociclite, che può causare la perdita della vista. L'identificazione precoce dei pazienti a rischio di progressione della malattia rimane una sfida clinica importante.

Obiettivi: Valutare la capacità predittiva di un'ampia gamma di parametri clinici, ecografici, genetici, multiomici e immunologici per prevedere la severità del decorso (estensione poliarticolare) e l'insorgenza di iridociclite nei pazienti affetti da AIG oligoarticolare a esordio precoce •

Metodi: Si tratta di uno studio prospettico-retrospettivo, traslazionale, multicentrico. Le valutazioni effettuate includono: 1) Quantificazione dell'attività della malattia tramite punteggi clinici standardizzati; 2) Esame ecografico standardizzato di 10 articolazioni indice; 3) Esame oftalmologico con lampada a fessura e ricerca di cellule infiammatorie nel segmento anteriore mediante tomografia a coerenza ottica (OCT); 4) Prelievo di campioni di sangue, urina, lacrime e di liquido sinoviale (SF) per effettuare) la valutazione dei parametri ematologici di routine e dei marcatori noti dell'attività della malattia, b) il sequenziamento dell'esoma completo su pazienti e famiglie per identificare eventuali fattori genetici predisponent, c) analisi multiomiche (proteomiche, metabolomiche e lipidomiche);d) la caratterizzazione immunologica con immunofenotipizzazione dei sottogruppi leucocitari, profilazione delle citochine/chemochine, quantificazione della NETosi, e) l'analisi delle vescicole extracellulari:

caratterizzazione miRNomica, proteomica e fenotipica

Risultati: Abbiamo sviluppato un approccio multiomico integrato basato su proteomica, metabolomica e lipidomica tramite spettrometria di massa Orbitrap ad alta risoluzione, combinata con cromatografia liquida, ottenendo analisi altamente selettive e sensibili. Parallelamente, è stato ottimizzato un protocollo di sequenziamento NGS su piattaforma Illumina NovaSeq per definire il genoma completo di pazienti e genitori che si è dimostrato nel collegare varianti genetiche a fenotipi clinici e stratificare il rischio di progressione. Sono stati ad oggi arruolati 26 pazienti. I risultati preliminari relativi alla citometria a flusso ha rivelato che i pazienti che progredivano verso la pcJIA presentavano alterazioni significative nei fenotipi delle cellule T, tra cui un aumento della frequenza delle cellule HLA-DR+ all'interno dei sottogruppi sia CD4+ che CD8+ (AUC = 0,9), un'espansione delle cellule T di memoria effettrici CD4+ e CD8+ (AUC = 0,9), e una marcata riduzione delle popolazioni di cellule T naïve CD4+ (AUC = 0,8) e CD8+ (AUC = 0,9).

Conclusioni: L'integrazione dei dati omici e immunofenotipici attraverso approcci di machine learning consente l'identificazione precoce dei pazienti a maggior rischio di esiti gravi, supportando l'implementazione di strategie terapeutiche personalizzate. I risultati preliminari relativi alla citometria ed all'immunofenotipo confermano la potenzialità di predire l'evoluzione clinica. Questi risultati andranno integrati con l'analisi del secreto lacrimale e con l'analisi dei dati genetici, tuttora in corso, al fine di ottenere il modello integrato previsto.

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto):

Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate

- Novel Immune biomarkers for the early stratification of oligoarthritis patients at risk of developing polyarticular extension. Raggi F, Pelassa S, Antonini F, Rossi C, Briasco F, Orsi SM, Del Zotto G, Cangelosi D, Ravelli A, Gattorno M, Consolaro A, Bosco MC. Front Immunol. 2025 Oct 8;16:1663663. doi: 10.3389/fimmu.2025.1663663.

Data 26/03/2027

Il Responsabile del Progetto
Dott. Alessandro Consolaro

ALESSANDRO
CONSOLARO
26.03.2026
16:16:37
GMT+01:00



Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

RENATO ALBERTO
MARIO Botti
30.03.2026
07:14:23
GMT+01:00



Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale dell'IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Titolo del progetto: Nuove strategie di supporto all'insufficienza midollare post-trapianto e nelle insufficienze midollari congenite ed acquisite Codice ministeriale progetto: 5M-2019-23680424

Abstract dei risultati ottenuti:

Introduzione. Il progetto ha lo scopo di: a) individuare possibili strategie sperimentali e terapeutiche per migliorare una complicanza che può compromettere la riuscita del trapianto di cellule staminali emopoietiche (CSE) rappresentata dalla “poor graft function” e b) studiare i meccanismi patogenetici che sono implicati nelle insufficienze midollari congenite e acquisite.

Metodologia e risultati. Il progetto è stato condotto congiuntamente tra la UOSD trapianto di CSE, Cell factory e laboratorio di Ematologia dell'IRCC Istituto G. Gaslini.

1. **Progetto gamma-delta.** La sezione ricerca e sviluppo della Cell factory ha selezionato ed espanso cellule gamma-delta che oltre ad un effetto anti tumorale e anti infettivo hanno lo scopo di migliorare l'attecchimento dopo trapianto aploidentico alfa/beta/CD19 depleto. Dopo questa fase, nel 2025, la cell factory ha ottenuto l'autorizzazione alla produzione da parte dell' AIFA e dell' ISS. In questa fase è in corso la valutazione della fattibilità nella pratica clinica.
2. **Progetto strategie terapeutiche:**
 - a) Studio retrospettivo monocentrico sull'incidenza di EBV riattivazioni post trapianto di CSE.
 - b) Studio multicentrico tra tre centri trapianto pediatrici italiani sull'efficacia del Eltrombopag nel trattamento della poor graft function. Tale pubblicazione è stata accettata come pubblicazione su rivista indicizzata.
3. **Progetto insufficienze midollari primitive congenite.** Il progetto è stato condotto

con gruppo di lavoro del laboratorio di Ematologia. E' stata studiata la biochimica mitocondriale e il profilo citochinico nei pazienti con anemia di Fanconi nella fase post trapianto CSE, allo scopo di capire quanto la nicchia midollare influenzi il profilo delle citochine e la biochimica mitocondriale delle cellule del donatore e per correlare i dati ottenuti con i differenti profili biochimici con l'outcome. trapiantologico. I dati preliminari suggeriscono che le cellule mononucleate di pazienti FA post TCSE presentano delle alterazioni del metabolismo mitocondriale, che si associano alla persistenza di uno stato proinfiammatorio a livello della nicchia emopoietica. Tali alterazioni non sembrerebbero trapianto-correlate, in quanto assenti nella popolazione di confronto . Lo studio è stato presentato negli atti del congresso Europeo di Trapianto (EBMT) ed è in corso la stesura del manoscritto.

Conclusioni: La ricerca che abbiamo condotto con i fondi 5 per mille ANNO 2019 ci ha permesso di condurre alcuni studi con alcune componenti di ricerca del nostro Istituto come la Cell Factory e il laboratorio di ematologia e contemporaneamente di condurre studi clinici e di ricerca relativamente alla problematica della poor graft function. I nostri obiettivi per il futuro sono proseguire la collaborazione su questi temi di ricerca al fine di migliorare la prognosi di questi pazienti

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto):

Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate

- Ferrando G, Bagnasco F, Pierri F, Pestarino S, Dell'Orso G, Giardino S, Di Marco E, Santaniello M, Castagnola E, Faraci M. Epstein-Barr virus reactivation in pediatric allogeneic stem cell transplant recipients: an 11-year experience on viral load and B lymphocyte monitoring strategy. Front Immunol. 2024 Oct 25;15:1492367.

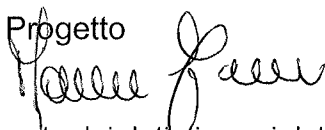
-Filomena Pierri , Francesca Bagnasco , Sara Pestarino , Francesco Saglio , Franca Fagioli , Riccardo Masetti , Davide Leardini , Maura Faraci. Use of eltrombopag for the treatment of poor graft function after allogeneic hematopoietic stem cell transplantation in children: a retrospective multicenter study. Accepted for publication in Transplantation and Cellular Therapy

-Pestarino S, Guardo D, Canevari FRM, Guastini L, Piatelli G, Tortora D, Severino M, Rossi DC, Miano M, Dufour C. Sphenoidal sinus extramedullary hematopoiesis in a child with sickle cell disease. A case report. Blood Transfus. 2025 Sep 30.

-Dell'Orso G, Passarella T, Cappato S, Cappelli E, Regis S, Maffei M, Balbi M, Ravera S, Di Martino D, Viaggi S, Davì S, Corsolini F, Giarratana MC, Arcuri L, Mariani E, Morini R, Massaccesi E, Guardo D, Calvillo M, Palmisani E, Coviello D, Fioredda F, Dufour C, Bocciardi R, Miano M. Chromosomal Deletion Involving ANKRD26 Leads to Expression of a Fusion Protein Responsible for ANKRD26-Related Thrombocytopenia. Int J Mol Sci. 2025 Jul 29;26(15):7330.

Data

Il Responsabile del Progetto
Dott. Maura Faraci



Il Legale Rappresentante

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



RENATO
ALBERTO
MARIO Botti
18.03.2026
13:03:25
GMT+01:00



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale dell’IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Titolo del progetto: GASLINI genome-editing lab: sviluppo di una piattaforma cellulare avanzata per lo studio di malattie genetiche
Codice: 5M-2019-23680430

Abstract dei risultati ottenuti:

Introduzione

Le malattie genetiche sono spesso caratterizzate da un importante ritardo diagnostico e dalla carenza di terapie efficaci. I modelli animali possono permettere di comprendere i meccanismi patogenetici; tuttavia, raramente riproducono l'intero spettro fenotipico della malattia umana. Il recente sviluppo di tecniche avanzate di coltura cellulare ha aperto la strada allo studio di parametri fisiologici complessi. L'utilizzo di cellule staminali pluripotenti indotte (iPSC) consente la generazione di cellule umane differenziate partendo da cellule del sangue o fibroblasti facilmente ottenibili da pazienti o soggetti sani.

Il nostro progetto si è posto l'obiettivo di sviluppare una piattaforma in vitro, basata su iPSC e tecnologie di editing genomico CRISPR/Cas9, per lo studio di diverse malattie genetiche del neurosviluppo (NDD), autoinfiammatorie (AID) e da immunodeficienza primaria (PID).

Metodologie e risultati ottenuti

Nel contesto del progetto, sono stati selezionati geni rilevanti per NDD (GLUT1 e CACNA1A), AID (SAVI e COPA) e PID (XLP1). Sono stati ottimizzati protocolli di genome editing basati su CRISPR/Cas9, base editing e prime editing in iPSC per l'introduzione mirata o la correzione di varianti patogenetiche e la generazione di linee isogeniche. Le iPSC sono state avviate a protocolli di differenziamento neurale, a monocito macrofagi o cellule NK, ponendo le basi per analisi funzionali comparative.

Conclusioni

Le attività svolte hanno consentito di validare l'approccio basato su iPSC e genome

editing per lo studio delle malattie genetiche. I modelli generati rappresentano una piattaforma robusta per future analisi funzionali e per l'esplorazione di meccanismi patogenetici specifici, con potenziali ricadute in ambito terapeutico.

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto):

Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate

Modeling Mowat-Wilson syndrome with patient iPSCs reveals transcriptional and phenotypic defects in neural progenitors. Musante I, Gorrieri G, Tamburro S, Ferrera G, Baldassari S, Fetta A, Caraffi SG, Vignoli A, Fiorito G, Garavelli L, Canevini MP, Cordelli DM, Zara F, Ricci E, Scudieri P. *Neurobiol Dis.* 2026 Jan;218:107205. doi: 10.1016/j.nbd.2025.107205. Epub 2025 Nov 29.

CACNA1A loss-of-function affects neurogenesis in human iPSC-derived neural models. Musante I, Cangelosi D, Muzzi L, Jaudon F, Di Duca M, Guerrisi S, Antonini F, De Spelozzi YCC, Cingolani LA, Zara F, Scudieri P. *Cell Mol Life Sci.* 2025 Jun 14;82(1):234. doi: 10.1007/s00018-025-05740-7.

Generation of two iPSC lines from Mowat-Wilson syndrome patients carrying heterozygous ZEB2 mutations. Gorrieri G, Tamburro S, Baldassari S, Guerrisi S, Zara F, Ricci E, Maria Cordelli D, Scudieri P, Musante I. *Stem Cell Res.* 2024 Apr;76:103333. doi: 10.1016/j.scr.2024.103333. Epub 2024 Feb 9. PMID: 38350246

Generation of an induced pluripotent stem cell line (IGGi002A) from nasal cells of a cystic fibrosis patient homozygous for the G542X-CFTR mutation. Dębczyński M, Mojsak D, Tamburro S, Baldassari S, Musante I, Casciaro R, Ciciriello F, Zara F, Scudieri P, Gorrieri G. *Stem Cell Res.* 2023 Oct;72:103232. doi: 10.1016/j.scr.2023.103232. Epub 2023 Oct 18. PMID: 37865062

A multi-organ-on-chip to recapitulate the infiltration and the cytotoxic activity of circulating NK cells in 3D matrix-based tumor model. Marzagalli M, Pelizzoni G, Fedi A, Vitale C, Fontana F, Bruno S, Poggi A, Dondero A, Aiello M, Castriconi R, Bottino C, Scaglione S. *Front Bioeng Biotechnol.* 2022 Jul 25;10:945149. doi: 10.3389/fbioe.2022.945149. eCollection 2022. PMID: 35957642

miR-24-3p down-regulates the expression of the apoptotic factors FasL and BIM in human natural killer cells. Regis S, Dondero A, Spaggiari GM, Serra M, Caliendo F, Bottino C, Castriconi R. *Cell Signal.* 2022 Oct;98:110415. doi: 10.1016/j.cellsig.2022.110415. Epub 2022 Jul 21. PMID: 35870695

Strategies for Potentiating NK-Mediated Neuroblastoma Surveillance in Autologous or HLA-Haploidentical Hematopoietic Stem Cell Transplants. Bottino C, Della Chiesa M, Sorrentino S, Morini M, Vitale C, Dondero A, Tondo A, Conte M, Garaventa A, Castriconi R. *Cancers (Basel).* 2022 Sep 20;14(19):4548. doi: 10.3390/cancers14194548. PMID: 36230485

Tumor Microenvironment and Hydrogel-Based 3D Cancer Models for In Vitro Testing Immunotherapies.

Vitale C, Marzagalli M, Scaglione S, Dondero A, Bottino C, Castriconi R. *Cancers (Basel).* 2022 Feb 17;14(4):1013. doi: 10.3390/cancers14041013. PMID: 35205760

Type I interferon signature: a quantitative standardized method for clinical application. Tesser A, Bocca P, Ulivi M, Pin A, Pastorino C, Cangelosi D, Santori E, Drago E, Caorsi

R, Candotti F, Gattorno M, Tommasini A, Volpi S.
Clin Exp Immunol. 2025 Jan 21;219(1):uxaf018. doi: 10.1093/cei/uxaf018.
PMID: 40127048

Data 30/01/2026

Il Responsabile del Progetto
Dott. Stefano Volpi



Stefano Volpi
Università degli Studi
di Genova
30.01.2026 10:11:51
GMT+01:00

Il Legale Rappresentante



RENATO
ALBERTO
MARIO Botti
18.03.2026
13:04:00
GMT+01:00

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria
Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini
Codice fiscale: 00577500101
Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE
Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org
Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Multi-componenti anticorpali tardive nelle glomerulonefriti primitive ed autoimmuni: dalla caratterizzazione con pannelli peptidici ad alta intensità allo sviluppo di tecniche ELISA per validazione ed applicazione clinica
Codice ministeriale: 5M-2019-23680431

Abstract dei risultati ottenuti:

I risultati del progetto sono supportati da una produzione scientifica coerente che documenta il ruolo dell'immunità umorale, degli autoanticorpi anti-podocita e delle cellule B nella patogenesi delle glomerulopatie primitive e autoimmuni. In particolare, è stato possibile contribuire all'identificazione e alla validazione di autoanticorpi diretti contro antigeni del diaframma di filtrazione, con particolare riferimento alla nefrina, come dimostrato in *Autoantibodies Targeting Nephrin in Podocytopathies* (N Engl J Med, 2024) e nello studio metodologico sulla loro rilevazione (*Evaluation of methodologies in anti-nephrin autoantibody detection*, Kidney Int, 2025). Ulteriori evidenze derivano dall'identificazione di anticorpi diretti contro componenti dello slit diaphragm associati a specifici fenotipi clinici (*Anti-slit diaphragm antibodies on kidney biopsy identify pediatric patients with steroid-resistant nephrotic syndrome responsive to second-line immunosuppressants*, Kidney Int, 2024).

Parallelamente, il progetto ha contribuito a chiarire il ruolo delle cellule B, e in particolare delle memory B cells, nella persistenza della malattia e nel rischio di recidiva, come evidenziato nello studio *Age and memory B cells at baseline are associated with risk of relapse and memory B-cell reappearance following anti-CD20 treatment* (Kidney Int, 2023) e nella review *Anti-CD20 monoclonal antibodies for idiopathic nephrotic syndrome: advances, challenges, and future directions* (Pediatr Nephrol, 2025).

Queste evidenze hanno avuto una diretta ricaduta traslazionale, supportando lo sviluppo di strategie terapeutiche mirate al compartimento B cellulare e plasmacellulare, come dimostrato nei lavori *Combined Rituximab and Daratumumab Treatment in Difficult-to-Treat Nephrotic Syndrome Cases* (Kidney Int Rep, 2024), *Efficacy of combined rituximab and daratumumab treatment in posttransplant recurrent focal segmental glomerulosclerosis* (Am J Transplant, 2024), *Daratumumab efficacy in steroid-resistant nephrotic syndrome correlates with CD38+ B-cell depletion* (Kidney Int Rep, 2025) e *Obinutuzumab in Rituximab-Resistant Podocytopathies* (Kidney Int Rep, 2025).

Infine, il progetto si inserisce in un più ampio contesto di studio dei meccanismi immunologici e autoanticorpali nelle glomerulonefriti, come documentato nelle review e nei lavori di caratterizzazione di nuovi autoanticorpi, tra cui *Technology innovation for discovering renal autoantibodies in autoimmune conditions* (Int J Mol Sci, 2024), *Antibodies against anti-oxidant enzymes in autoimmune glomerulonephritis and antibody-mediated graft rejection* (Antioxidants, 2024), *Autoantibodies in lupus nephritis: evidence-based overview* (Autoimmun Rev, 2024) e l'identificazione di nuovi target antigenici quali FMNL1 (*Discovery of anti-Formin-like 1 protein antibodies in membranous nephropathy and other glomerular diseases*, Sci Rep, 2022).

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto):

Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate

- Colucci M, Angeletti A, Zotta F, et al. *Memory B cells predict relapse after anti-CD20 therapy*. *Kidney Int*. 2023.
- Angeletti A, Ghiggeri GM. *Anti-CD20 monoclonal antibodies for idiopathic nephrotic syndrome*. *Pediatr Nephrol*. 2025.
- Angeletti A, Bin S, Kajana X, et al. *Combined Rituximab and Daratumumab Treatment in Difficult-to-Treat Nephrotic Syndrome*. *Kidney Int Rep*. 2024.
- Bigatti C, Angeletti A, et al. *Daratumumab efficacy correlates with CD38+ B-cell depletion*. *Kidney Int Rep*. 2025.
- Angeletti A, Caridi G, et al. *Obinutuzumab in rituximab-resistant podocytopathies*. *Kidney Int Rep*. 2025.
- Bruschi M, Candiano G, Petretto A, et al., Angeletti A. *Technology innovation for discovering renal autoantibodies*. *Int J Mol Sci*. 2024.
- Bruschi M, Candiano G, Petretto A, et al., Angeletti A. *Antibodies against anti-oxidant enzymes in GN and graft rejection*. *Antioxidants*. 2024.
- Bruschi M, Angeletti A, et al. *Autoantibodies in lupus nephritis: evidence-based overview*. *Autoimmun Rev*. 2024.
- Chiarenza DS, Verrina EE et al. Angeletti A. B-Cell Depletion in Glomerular Diseases: Not Always as Safe as We May Think. *Kidney Med*. 2026 Jan 14;8(3):101268. doi: 10.1016/j.xkme.2026.101268.
- Kajana X, Caridi G et al. Angeletti A. The Crosstalk Between NETs and the Complement Cascade: An Overview in Nephrological Autoimmune Disease. *Int J Mol Sci*. 2025 Mar 20;26(6):2789. doi: [10.3390/ijms26062789](https://doi.org/10.3390/ijms26062789)
- Chiarenza DS, Mancini R et al AngelettiA. Case report: Single infusion of combined anti-CD20 and anti-CD38 monoclonal antibodies in pediatric refractory lupus nephritis. *Front Immunol*. 2025 Jan 28;16:1525892. doi: [10.3389/fimmu.2025.1525892](https://doi.org/10.3389/fimmu.2025.1525892)
- Cravedi P, Bigatti C et al. Angeletti A. Efficacy and Safety of Subcutaneous Rituximab in Idiopathic Nephrotic Syndrome. *Kidney Int Rep*. 2024 Aug 26;9(11):3332–3334. doi: [10.1016/j.ekir.2024.08.021](https://doi.org/10.1016/j.ekir.2024.08.021)
- Bigatti C, Chiarenza DS, Angeletti A. To biopsy or not to biopsy a teenager with idiopathic nephrotic syndrome? Biopsy first. *Pediatr Nephrol*. 2024 Sep 9;40(2):571–578. doi: [10.1007/s00467-024-06510-6](https://doi.org/10.1007/s00467-024-06510-6)

Data 25/03/2026

Il Responsabile del Progetto
Dott. Andrea Angeletti



Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante

Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
26.03.2026 12:16:06
GMT+00:00



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dircientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Caratterizzazione genomica di campioni tumorali di pazienti affetti da neoplasie solide recidivati o refrattari o ad alto rischio

Codice ministeriale: 5M-2019-23680433

Abstract dei risultati ottenuti

Introduzione:

Le patologie tumorali rappresentano ancora oggi la principale causa di morte nei bambini di età compresa tra 0 e 14 anni, nonostante l’approccio multidisciplinare (chemioterapia ± radioterapia ± chirurgia). Circa il 30–40% dei pazienti pediatrici trattati sviluppa una recidiva di malattia, con un tasso di mortalità superiore all’80%. Alla luce di ciò, la finalità del progetto è stata la profilazione molecolare dei tumori solidi (esclusi i tumori del sistema nervoso centrale ed il Neuroblastoma), mediante tecniche di sequenziamento di nuova generazione, al fine di individuare varianti genetiche somatiche ed ereditarie utili a migliorare il trattamento e la prognosi, in particolare nei tumori ad alta aggressività.

L’obiettivo principale dello studio è stato la caratterizzazione molecolare, mediante Next Generation Sequencing (NGS), di campioni biotipici, con lo scopo di definire, attraverso un unico test diagnostico, il profilo mutazionale del tumore per consentire l’identificazione di mutazioni nelle regioni geniche sequenziate (actionable, passenger, druggable), di mutazioni driver, di pathway mutazionali, del tumor mutational burden.

L’obiettivo esploratorio è stato l’utilizzo dei campioni per lo sviluppo di modelli tumorali preclinici. Prima della profilazione molecolare, è stata richiesta la conferma istopatologica di neoplasia maligna (alla diagnosi o alla recidiva).

Risultati:

Il progetto ha ottenuto l’approvazione del Comitato Etico territoriale nel maggio 2025.

Sono stati arruolati sette pazienti: sei alla diagnosi e uno alla recidiva. Due campioni (uno alla diagnosi e uno alla recidiva) sono risultati non diagnostici e sono stati pertanto esclusi

dalla profilazione. In 4 dei 7 casi analizzati sono state identificate mutazioni o fusioni geniche rilevanti ai fini di possibili terapie target. Un caso è attualmente in fase di analisi.

Per quanto riguarda l'obiettivo esploratorio, un campione è stato crioconservato in soluzione vitale, in attesa di essere impiantato in modello murino. In caso di attecchimento, darà origine a un PDX di prima generazione, che verrà successivamente reimpiantato per ottenere le generazioni successive e costituire una collezione di modelli utilizzabili per studi futuri.

Prodotti della Ricerca (correlati al progetto):

Elenco pubblicazioni su riviste indicizzate

-Nessuna

-Grazie alla metodologia ed i primi risultati del progetto si sta istituendo una Procedura Operativa Standard (SOP) interna per la diagnostica oncologica integrata.

Data 26/03/2026

CARLA
MANZITTI
26.03.2026
18:14:47
GMT+01:00

Il Responsabile del Progetto
Dott.ssa Carla Manzitti



Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

RENATO ALBERTO
MARIO Botti
30.03.2026 07:14:43
GMT+01:00



Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Abstract ed elenco pubblicazioni scientifiche

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: I.R.C.C.S. Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini n. 5 – 16100 Genova

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: grantoffice@gaslini.org –
dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti – Direttore Generale

Titolo del progetto: BoMukid e fragilità ossea: gruppo di studio osso-muscolo-
rene

Codice ministeriale del progetto: 5M-2019-23680434

Abstract dei risultati ottenuti:

Introduzione

Il progetto BoMuKid è stato sviluppato con l’obiettivo di migliorare diagnosi, presa in carico e ricerca nell’ambito dell’osteoporosi pediatrica primaria e secondaria. Lo studio ha analizzato tre modelli di fragilità ossea associati a osteogenesi imperfetta (OI), distrofia muscolare di Duchenne (DMD) e sindrome nefrosica (SN). Per questo scopo è stato istituito un gruppo multidisciplinare “Osso-Muscolo-Rene”, volto a integrare competenze cliniche, biochimiche, genetiche, funzionali e di imaging per caratterizzare i determinanti della fragilità scheletrica nelle diverse condizioni patologiche.

Metodologia e risultati

Sono stati arruolati 53 pazienti pediatriche con osteoporosi primaria o secondaria (età media $11,5 \pm 3,6$ anni). Le fratture sono risultate molto frequenti, interessando il 100% dei pazienti con OI, il 66,6% dei pazienti con DMD e circa il 46% dei pazienti con SN. L’analisi dei marcatori di turnover osseo ha evidenziato differenze significative tra i gruppi: nei pazienti con DMD è stata osservata una marcata soppressione dei marcatori di formazione e riassorbimento osseo, mentre nei pazienti con OI i valori risultavano ridotti e nei soggetti con SN generalmente nella norma. Il 38% della coorte presentava ipovitaminosi D. Le indagini densitometriche mediante DXA hanno evidenziato una riduzione della densità minerale ossea in una quota significativa di pazienti, con valori più compromessi nei soggetti con DMD. L’analisi della composizione corporea ha mostrato una percentuale elevata di massa grassa in tutti i gruppi e una riduzione della massa magra nei pazienti con DMD. Le valutazioni funzionali, condotte mediante test di forza muscolare (Hand Grip, HG) e scale funzionali dell’arto superiore (Performance of Upper Limb, PUL), oltre ai test di capacità funzionale globale (Six-Minute Walk Test, 6MWT; Four Ascend Stairs, 4AS), hanno evidenziato una riduzione della performance nei pazienti con DMD rispetto agli altri gruppi. Lo studio genetico ha inoltre consentito di definire la diagnosi molecolare nella maggior parte dei casi di osteoporosi primaria.

Conclusioni

I risultati dimostrano che la fragilità ossea in età pediatrica può derivare da meccanismi biologici differenti a seconda della patologia di base, pur conducendo allo stesso esito clinico rappresentato dalle fratture. L'integrazione di dati clinici, biochimici, genetici, funzionali e di imaging ha permesso di delineare profili distinti di compromissione dell'unità muscolo-scheletrica nei diversi modelli di malattia. L'approccio multidisciplinare sviluppato nel progetto ha portato alla creazione di un centro dedicato allo studio della salute ossea in età pediatrica e ha consentito l'identificazione di nuove varianti genetiche e potenziali biomarcatori associati alla fragilità scheletrica. Questi risultati costituiscono la base per lo sviluppo di modelli predittivi del rischio fratturativo e per l'avvio di futuri studi clinici mirati allo sviluppo di nuovi trattamenti.

Il Responsabile del Progetto
Dott.ssa Natascia Di Iorgi



NATASCIA DI
IORGI
UNIVERSITÀ DEGLI
STUDI DI GENOVA
24.03.2026
12:12:57
GMT+01:00

Il Legale Rappresentante
dott. Renato Botti



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
26.03.2026 12:16:44
GMT+00:00

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Approccio multiomico per identificare un comune difetto biochimico a tutte le aplasie midollari
Codice ministeriale: 5M-2019-23680411


Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 341.366,70	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		85.639,33 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		215.319,20 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		7.029,86 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		27.231,00 €
Altro (pubblicazioni)		6.147,31 €
TOTALE		341.366,70 €

 ANGELO RAVELLI
13.03.2026
11:33:50
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli

 RENATO ALBERTO MARIO
Botti
17.03.2026 08:07:54
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Approcci di medicina personalizzata per il trattamento delle malattie rare: una piattaforma funzionale per agire sui meccanismi patogenetici mediante il riposizionamento dei farmaci
Codice ministeriale: 5M-2019-23680413

Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 185.043,44	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		49.084,33 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		121.141,66 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		18,00 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		14.799,45 €
Altro		0,00 €
TOTALE		185.043,44 €



ANGELO RAVELLI
13.03.2026
11:34:26
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
17.03.2026 08:08:32
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Medicina riabilitativa personalizzata e di precisione nell'ictus pediatrico: trial clinico randomizzato con esplorazione funzionale delle vie motorie
Codice ministeriale: 5M-2019-23680415

Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 207.788,43	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		92.561,75 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		98.328,82 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		0,00 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		322,47 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		16.575,39 €
Altro		0,00 €
TOTALE		207.788,43 €



ANGELO RAVELLI
13.03.2026 11:35:10
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



RENATO ALBERTO MARIO
Botti
17.03.2026 08:09:02
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Evoluzione nella caratterizzazione omica delle analisi in single cell

Codice ministeriale: 5M-2019-23680417

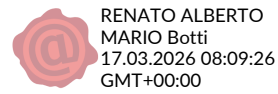
Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 311.682,64	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		77.116,01 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		189.954,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		1.183,40 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		12.478,35 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		24.863,08 €
Altro (software)		6.087,80 €
TOTALE		311.682,64 €



Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Analisi dei sistemi di comunicazione inter-organo tramite esosomi circolanti. Applicazione alla diagnostica e prevenzione delle principali patologie umane cistiche e tumorali

Codice ministeriale: 5M-2019-23680420

Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 341.366,70	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		84.729,02 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		46.360,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		171.253,85 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		907,12 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		27.309,34 €
Altro (pubblicazioni)		10.807,37 €
TOTALE		341.366,70 €



ANGELO RAVELLI
13.03.2026
11:37:07
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
17.03.2026 08:09:53
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Sviluppo di nuovi approcci terapeutici per il trattamento di pazienti pediatrici affetti da patologie infiammatorie intestinali (malattia di Crohn fistolizzante) refrattarie a farmaci convenzionali
Codice ministeriale: 5M-2019-23680421

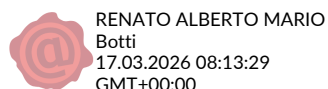
Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 341.367,00	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		127.003,46 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		182.899,86 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		1.622,42 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		27.231,00 €
Altro (pubblicazione)		2.610,26 €
TOTALE		341.367,00 €



Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Sviluppo di un modello integrato per la predizione del decorso e dell'outcome dell'artrite idiopatica giovanile ana-positiva ad esordio precoce
Codice ministeriale: 5M-2019-23680423

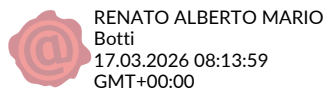
Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 304.261,62	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		79.067,60 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		194.738,63 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		3.088,76 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		24.271,10 €
Altro (pubblicazioni)		3.095,53 €
TOTALE		304.261,62 €



Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Nuove strategie di supporto all'insufficienza midollare post-trapiantologica e nelle insufficienze midollari congenite ed acquisite
Codice ministeriale: 5M-2019-23680424

Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 415.576,85	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		143.898,60 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		174.297,07 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		53.170,97 €
Elaborazione dati		4.398,80 €
Spese amministrative		33.150,78 €
Altro (pubblicazioni)		6.660,63 €
TOTALE		415.576,85 €



ANGELO RAVELLI
13.03.2026
11:39:39
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
17.03.2026 08:14:26
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: GASLINI genome-editing lab: sviluppo di una piattaforma cellulare avanzata per lo studio di malattie genetiche
Codice ministeriale: 5M-2019-23680430


Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 400.734,82	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato): €

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		123.377,47 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		236.073,18 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		0,00 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		31.966,82 €
Altro (trasporto e tassa)		9.317,35 €
TOTALE		400.734,82 €

 ANGELO RAVELLI
13.03.2026
11:40:12
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli

 RENATO ALBERTO
MARIO Botti
17.03.2026 08:14:53
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

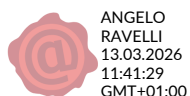
Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Multi-componenti anticorpali tardive nelle glomerulonefriti primitive ed autoimmuni: dalla caratterizzazione con pannelli peptidici ad alta intensità allo sviluppo di tecniche ELISA per validazione ed applicazione clinica
Codice ministeriale: 5M-2019-23680431

Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 237.472,49	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		65.844,84 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		129.707,99 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		11.654,93 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		18.943,30 €
Altro (pubblicazioni)		11.321,43 €
TOTALE		237.472,49 €



ANGELO
RAVELLI
13.03.2026
11:41:29
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
17.03.2026 08:15:18
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: Caratterizzazione genomica di campioni tumorali di pazienti affetti da neoplasie solide recidivati o refrattari o ad alto rischio
Codice ministeriale: 5M-2019-23680433

Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 192.946,00	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		65.425,32 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		94.997,27 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		8.201,27 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		15.391,00 €
Altro (trasporto e pubblicazioni)		8.931,14 €
TOTALE		192.946,00 €



ANGELO
RAVELLI
13.03.2026
11:42:17
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
17.03.2026 08:15:58
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante



Ministero della Salute – Direzione Generale della Ricerca e dell’Innovazione in Sanità

Fondi 5 per mille ANNO 2019
Rendiconto finale di spesa

Ente della Ricerca Sanitaria

Denominazione Ente: IRCCS Istituto Giannina Gaslini

Codice fiscale: 00577500101

Sede legale: Via Gerolamo Gaslini 5, 16147 Genova GE

Indirizzo di posta elettronica dell'ente: dirscientifica@gaslini.org

Dati del rappresentante legale: Dott. Renato Botti Direttore Generale

Titolo del progetto: BoMuKid e fragilità ossea: gruppo di studio osso-muscolo-
rene

Codice ministeriale: 5M-2019-23680434

Data di inizio progetto: 01/01/2022	Data di fine progetto: 31/12/2025
Fondi 5 per mille assegnati al progetto: € 372.906,02	Costo complessivo del progetto (se co-finanziato):

VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)		167.743,37 €
Apparecchiature (ammortamento, canone di locazione/leasing)		0,00 €
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, acquisto farmaci ecc.)		172.208,07 €

Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi e missioni ecc.)		3.207,68 €
Elaborazione dati		0,00 €
Spese amministrative		29.746,90 €
Altro		0,00 €
TOTALE		372.906,02 €



ANGELO RAVELLI
13.03.2026
11:42:58
GMT+01:00

Il Direttore Scientifico
Prof. Angelo Ravelli



RENATO ALBERTO
MARIO Botti
17.03.2026 08:16:22
GMT+00:00

Il Legale Rappresentante
Dott. Renato Botti

Si autorizza al trattamento dei dati ai sensi del d.lgs. 196/2003

Il Legale Rappresentante