

Prof. Silvio Garattini

Silvio Garattini, Presidente dell'Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri

## LETTERA ALLE FAMIGLIE

*Abbiamo chiesto al prof. Garattini, fondatore dell'Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri, di dedicarci un pensiero riguardo alla pandemia di COVID-19 e di come ci si possa avvicinare al vaccino quando il soggetto è affetto da patologie disabilitanti o rare come la sindrome di Rett. Ecco la sua risposta, dedicata a tutte le nostre famiglie.*

La pandemia indotta dal virus SARS-CoV-2 dura ormai da più di un anno e continua con il suo tragico carico di persone contagiate da cui dipendono gravi malattie e morti.

Purtroppo la novità di questa vicenda e l'impreparazione generale non permettono ancora di intravedere un ritorno alla normalità che nonostante le giustificate aspettative richiederà probabilmente qualche anno. Infatti siamo in grave ritardo per quanto riguarda l'approvvigionamento dei vaccini e soprattutto **solo adesso ci siamo decisi a rendere operativo un sistema di produzione dei vaccini che potevamo realizzare fin dal mese di settembre scorso.** Tuttavia ancora oggi non sappiamo quando riusciremo ad avere la cosiddetta immunità di gregge perché non sappiamo quanto sarà la durata protettiva degli attuali vaccini e se sarà necessario vaccinarsi ogni anno. Inoltre, il fatto di non vaccinare tempestivamente le popolazioni dei Paesi a basso reddito permetterà al virus di circolare e di produrre varianti che potrebbero essere resistenti agli attuali vaccini. Infine, il tutto potrà migliorare se e quando saranno disponibili farmaci capaci di esercitare attività antivirale e quindi di poter curare la malattia Covid-19. Appare quindi legittimo l'appello dell'Associazione Pro RETT Ricerca perché si possano vaccinare rapidamente gli ammalati e coloro che se ne prendono cura.

Purtroppo ci sono alcuni problemi noti a tutti. I vaccini disponibili non sono stati sperimentati nei giovani con meno di 16 anni perché si è data la priorità, per due vaccini, agli anziani che hanno rappresentato la quasi totalità dei morti. La buona notizia è che in base alla buona tollerabilità dei vaccini ormai valutata su oltre 100 milioni di persone, **sono partiti studi sperimentali** sui giovani. Uno studio si occupa dei giovani con età superiore ai 12 anni ed un'altra ricerca sui bambini con più di 6 anni. Queste ricerche **dovrebbero essere concluse in estate** e se positive potrebbero permettere di iniziare la vaccinazione di una quota dei più piccoli. Intanto occorre fare in modo che gli ammalati di Rett di età superiore ai 16 anni ed i loro caregiver entrino nelle liste prioritarie delle persone con fattori di rischio e possano venire vaccinati. Per i più piccoli bisogna purtroppo attendere, ma **deve essere un'attesa consapevole.**

Occorre continuare a mettere in atto tutte le regole di sicurezza ormai ben conosciute perché se vengono osservate il rischio di contagio diventa molto piccolo. Poiché il periodo di "clausura" non finirà rapidamente occorre fare in modo che i bambini abbiano le migliori attenzioni per **mantenere attive le funzioni motorie attraverso passeggiate e un po' di ginnastica**, realizzata sotto forma di gioco. Inoltre è necessario **mantenere attive le funzioni intellettuali attraverso la musica, il disegno, la lettura di storie** adatte all'età al fine di mantenere attivi i processi di sviluppo cerebrale. Sono consigli ovi, ma l'esercizio fisico e quello intellettuale vanno intensificati anche per **prevenire l'ansia, la depressione e lo stress** così generalizzati in un'epoca in cui dominano la noia e la paura.

Un caro saluto a tutti nella speranza di poterci avvicinare a un nuovo tipo di normalità.

**NOTIZIARIO DI  
PRO RETT RICERCA ONLUS**  
Registrazione Tribunale di  
Vicenza n. 1154 del 26/10/2007

**Direttore Responsabile**  
Antonella Vicenzi

**Direttore di Redazione**  
Rita Bernardelli

**Grafica**  
Robert Michel  
Via Cascina Pariana, 1  
20060 Pessano con Bornago (MI)  
robertmichel@me.com

**Stampa**  
Notizie Due  
Via Malta, 40 - Modena

**Editore**  
Pro RETT Ricerca Onlus  
Via XXV Aprile, 52  
46028 Sermide e Felonica (MN)  
tel. 3381666512  
info@prorett.org  
www.prorett.org

*Informativa per il trattamento dei dati  
personali ai sensi della legge 196/2003  
(cod. privacy). Qualora NON desideriate  
ricevere Pro RETT News scrivete a:  
info@prorett.org, oppure tramite lettera  
a Pro RETT Ricerca Onlus - Via XXV Aprile 52  
46028 Sermide e Felonica (MN).*

## SOCI PRO RETT RICERCA

- 50 €: Quota Socio Ordinario

## COME AIUTARE LA RICERCA SULLA SINDROME DI RETT

- Conto Corrente Postale n° 55989073
- Bonifico bancario:

Banca Monte Dei Paschi di Siena  
IBAN: IT92 G010 3057 9700 0001 0050 057

Banca Prossima del Gruppo Intesa San Paolo  
IBAN: IT48 M033 5901 6001 0000 0074 468

Banca della Valsassina  
IBAN: IT22 X085 1551 3600 0000 0201 216

Intestato a:  
Pro RETT Ricerca - Via XXV Aprile, 52  
46028 Sermide e Felonica (MN)

- PayPal dal sito [www.prorett.org](http://www.prorett.org)
- Donando il tuo 5x1000 a Pro RETT Ricerca inserendo il Codice Fiscale **93 043 680 201** con la tua firma nel riquadro del sostegno al volontariato

## Contenuti in evidenza

- 1 La speranza che non si ferma mai
- 3 3 laboratori uniti per accelerare lo sviluppo di nuovi farmaci
- 4 Dai nostri ricercatori
- 5 Aggiornamento sui nostri progetti dai laboratori di Milano
- 7 Iniziative per finanziare la ricerca sulla sindrome di Rett
- 8 Sostieni la ricerca scientifica donando il tuo 5xmille a Pro RETT Ricerca

## CONTRIBUTI PER LA RICERCA RETT 2020

Nel 2020 abbiamo ampliato e diversificato il nostro sostegno con contributi mirati a specifici progetti di ricerca, ricercatori e attrezzature, come presentato nei precedenti numeri di Pro RETT News. Il totale dei fondi destinati ai laboratori è stato di € 215.596,00. Nel dettaglio:

Laboratorio San Raffaele Rett Research Center di Milano  
**€ 79.500**

Laboratorio Università degli Studi di Milano  
**€ 49.500**

Laboratorio Università degli Studi di Trieste  
**€ 55.000**

Compenso lordo per lavoro autonomo e occasionale a ricercatori  
**€ 24.375**

Acquisto strumento e attrezzatura scientifica per i laboratori di Milano: Thermal Cyclor  
**€ 3.385**

Acquisto piccola attrezzatura per i laboratori di Milano  
**€ 1.952**

Contributo per pubblicazione su rivista Springer Nature  
**€ 1.884**

Le previsioni di finanziamento per l'anno in corso danno continuità al lavoro dei ricercatori impegnati sui singoli progetti nelle università di Milano, Trieste e presso il San Raffaele Rett Research Center, a cui si aggiungerà un finanziamento importante per dare inizio al **Progetto integrato UNITS-HSR/UNIMI per la sindrome di Rett**, di cui leggerete nelle prossime pagine. Il nostro impegno nei confronti della ricerca di una cura su più fronti è possibile solo grazie a voi, donatori privati o aziende, che continuate a fornirci supporto. Potete fare molto anche solo destinando a Pro RETT Ricerca il **vostro 5X1000**, firmando sulla vostra Dichiarazione dei Redditi nel riquadro a Sostegno delle Organizzazioni Non Lucrative di Utilità Sociale e inserendo il nostro Codice Fiscale 93 043 680 201.

# LA SPERANZA CHE NON SI FERMA MAI

Ormai è più di un anno che le nostre vite sono state stravolte. L'emergenza sanitaria ancora in corso ci ha sottratto la tranquillità necessaria a portare avanti i progetti e i sogni per il futuro. Chi più, chi meno, **tutti siamo stati coinvolti senza volerlo**. Ovviamente ne ha risentito anche il nostro lavoro, così legato alle iniziative locali per la raccolta di fondi da destinare alla ricerca sulla sindrome di Rett. Non abbiamo potuto organizzare manifestazioni, concerti o banchetti per la sensibilizzazione, ma anche le campagne stagionali come quelle di Natale e Pasqua hanno risentito della crisi.

La buona notizia, però, è che il **Consiglio Direttivo di Pro RETT Ricerca** è riuscito a trovare le risorse per non venir meno agli impegni presi con i laboratori che sosteniamo, in primis il Laboratorio di Biologia Cellulare e Molecolare Applicata a Patologie del Neurosviluppo dell'Università degli Studi di Milano, il Centro Drug Screening RETT presso il Dipartimento di Scienze della Vita dell'Università di Trieste e il San Raffaele Rett Research Center.

Grazie alle tante famiglie che non si sono arrese allo stato di fatto e hanno trovato il modo di distribuire i nostri panettoni solidali, le nostre uova di Pasqua e tutta l'offerta di prodotti artigianali su cui pianifichiamo le nostre campagne di raccolta fondi, **i tre laboratori hanno appena iniziato una collaborazione biennale per accelerare i tempi della ricerca**. Potrete leggere maggiori dettagli nelle prossime pagine ma siamo davvero felici di aver dato il via a un progetto di ricerca congiunto tra due realtà così distanti.

Questa partnership, denominata **Progetto integrato UNITS-HSR/UNIMI per la sindrome di Rett**, è nata da una forte volontà del Consiglio Direttivo di Pro RETT Ricerca.

Con queste premesse vorrei ribadire un concetto chiave che guida le nostre decisioni, ossia quello della **collaborazione**. È un appello rivolto alle mamme e ai papà che sognano una cura per la sindrome di Rett e organizzano piccole raccolte fondi territoriali per sostenere questo o quel progetto di ricerca, mossi dalla speranza, dalla determinazione, dall'amore sconfinato per le loro figlie. È un appello a non disperdere le forze; a non frammentarsi in tante realtà delocalizzate senza relazionarsi con le altre.

In tutti questi anni, Pro RETT Ricerca ha cercato di creare una rete "virtuosa" con i più importanti centri di ricerca internazionali e le aziende farmaceutiche con la possibilità di poter mettere in trial molecole che possano aiutare nella quotidianità delle nostre "bambine". Nel nostro ultimo convegno - settembre 2018 - abbiamo iniziato questa attività di coinvolgimento con decine di professionisti che lavorano sui filoni della ricerca di base, traslazionale e clinica per un totale di quasi trenta laboratori nel mondo. **Vorremmo che ci fosse un punto di riferimento**, italiano ed europeo, che unitamente a tutte le realtà coinvolte lavori per scegliere e individuare progetti o laboratori in cui investire i nostri sforzi comuni.

**Noi vogliamo essere parte attiva in questo processo e stiamo facendo tutto ciò che in nostro potere perché questa volontà si realizzi.**

Abbiamo tutti appurato che in Europa e nel mondo la sindrome di Rett è una patologia "discretamente" studiata in diversi laboratori ma ci piacerebbe mutuare la volontà di collaborazione tra ricercatori, come quella nata tra il prof. Tongiorgi e la prof.ssa Landsberger per il progetto integrato a cui accennavo prima, anche con altri attori, che siano essi ricercatori o associazioni di pazienti. Sarebbe un passo importante quello di **riuscire a mettere a fattor comune l'impegno su un importante progetto**, che possa, nel breve periodo, avere un riscontro pratico per le nostre figlie.

Il mio desiderio, come Presidente di Pro RETT Ricerca, è quello di **ricevere una telefonata da parte delle tante associazioni italiane che raccolgono fondi per la ricerca sulla sindrome di Rett** e poter iniziare a collaborare già in questo 2021 così travagliato.

Nel lasciarvi alla lettura del nostro magazine vi raggiungo con un abbraccio, augurandomi che possiate affrontare insieme ai vostri cari il perdurare di questa emergenza sanitaria con il coraggio che contraddistingue tutte le persone che vivono - ogni giorno - una difficoltà come la nostra: la sindrome di Rett.



Il Presidente Franzé con le sue figlie e la nostra volontaria, Ilaria Grassani, responsabile degli eventi musicali per Pro RETT Ricerca.

# 3 LABORATORI UNITI PER ACCELERARE LO SVILUPPO DI NUOVI FARMACI



Negli ultimi mesi abbiamo lavorato molto sull'ottimizzazione dello stanziamento delle risorse economiche ai laboratori che sosteniamo grazie alle vostre donazioni e che coinvolgono un totale di 12 ricercatori, 1 tecnico di laboratorio, 2 studenti e 2 professori di facoltà. Il nostro obiettivo era, in primis, quello di fare tutto il possibile per accelerare i tempi della ricerca.

Per alcuni progetti - come quello di terapia cellulare portato avanti dalla dr.ssa Angelisa Frasca presso l'Università degli Studi di Milano - il nostro margine di intervento è strettamente legato alle rigide tempistiche della sperimentazione. **Per i progetti di drug screening siamo riusciti a fare molto di più**, dando vita a una collaborazione tra il prof. Enrico Tongiorgi, del laboratorio Cellular and Developmental Neurobiology presso l'Università di Trieste, e la prof.ssa Nicoletta Landsberger, che coordina il lavoro nei due laboratori del San Raffaele Rett Research Center e del Dipartimento di Biotecnologie Mediche e Medicina Traslationale presso l'Università degli Studi di Milano.

Il 26 gennaio è stata siglata e avviata una collaborazione tra i 3 laboratori, finanziati da Pro RETT Ricerca, per sviluppare un progetto integrato finalizzato a far progredire più speditamente la sperimentazione di farmaci sui modelli pre-clinici (cellulari e animali) **in preparazione di una possibile futura sperimentazione clinica**. I due gruppi di ricerca fino a oggi hanno lavorato su binari paralleli, identificando varie decine di potenziali candidati farmaci nel laboratorio di Trieste e alcuni potenziali candidati nei laboratori di Milano. La necessità di unire le diverse esperienze, fortemente sostenute da Pro RETT Ricerca, è nata per l'urgenza di imprimere

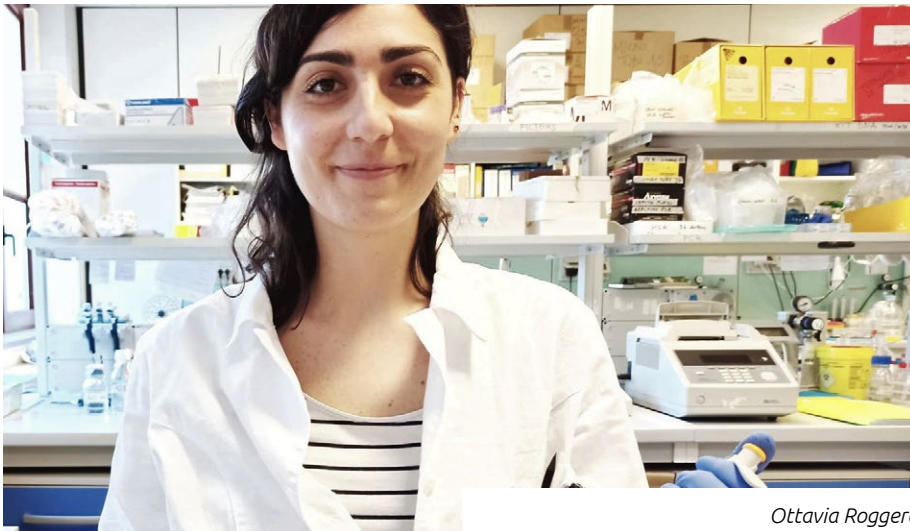
un'accelerazione alla sperimentazione di nuovi farmaci. La prof.ssa Landsberger e il prof. Tongiorgi, già dalla fine dell'anno precedente, avevano iniziato a dialogare e a confrontarsi per far sì che il loro lavoro potesse essere messo a fattor comune nei 3 laboratori per abbreviare il tempo che intercorre tra i test di laboratorio e la sperimentazione clinica. Così, nella riunione telematica di gennaio 2021, al sollecito di Pro RETT in tal senso, i due professori hanno prontamente risposto impegnandosi a sviluppare un progetto congiunto.

**I laboratori di Trieste e di Milano hanno subito iniziato a lavorare al progetto** mettendo a fattor comune le rispettive competenze. L'obiettivo comune è di effettuare nel più breve tempo possibile una serie di test in vitro selettivi e rigorosi per selezionare i farmaci più promettenti. Ogni laboratorio utilizzerà test ottimizzati nel proprio laboratorio utili a verificare le capacità di approcci farmacologici di migliorare o recuperare completamente i tipici difetti molecolari, morfologici o funzionali presentati dai neuroni Rett.

Il progetto prevede che i farmaci che riusciranno a superare con successo la maggioranza delle prove in vitro impostate dai ricercatori verranno poi testati in vivo per valutarne gli effetti su deficit del movimento, socializzazione, capacità cognitive, sensibilità sensoriale e sulla respirazione. Riguardo a quest'ultimo punto, Pro RETT Ricerca si è impegnata all'acquisto di un pletismografo; un apparecchio costoso, che prevede un investimento di circa 30.000 euro ma che risulta essenziale per misurare le apnee e altri dati scientifici nel laboratorio della prof.ssa Landsberger presso l'Università degli Studi di Milano.

# DAI NOSTRI RICERCATORI

*Vi portiamo le testimonianze di alcuni giovani ricercatori che lavorano presso i laboratori finanziati da Pro RETT Ricerca e che ci raccontano, con le loro parole, quali sono i principali obiettivi del loro lavoro.*



Ottavia Roggero

## ATROFIA

*di Ottavia Roggero - PhD student,  
Università degli Studi di Trieste*

La sindrome di Rett è caratterizzata da una ridotta crescita dei neuroni che si manifesta già dal scondo anno di vita, un fenomeno che prende il nome di atrofia neuronale. Nel mio lavoro presso il laboratorio di Neurobiologia cellulare e dello sviluppo del Prof. Enrico Tongiorgi, "atrofia" è la parola chiave che guida gli esperimenti. Si tratta di una delle principali criticità della Rett e si manifesta sotto svariate forme: il mio studio è focalizzato sulla lunghezza e sulla complessità delle ramificazioni neuronali da cui dipende l'interazione tra neuroni.

Con l'obbiettivo di identificare farmaci in grado di stimolarne la crescita, abbiamo generato un modello in vitro con neuroni estratti da topo mancante per il gene MECP2 che presenta la tipica atrofia neuronale riscontrabile nelle pazienti. Abbiamo quindi effettuato un test a tappeto di 640 farmaci già approvati per la terapia di altre malattie e da questo primo screening sono emersi 60 potenziali candidati nell'attività di recupero dei due aspetti morfologici dell'atrofia. Grazie alle sovvenzioni dell'associazione, prima da assegnista di ricerca e oggi a metà del mio primo anno di dottorato, ho potuto proseguire il test per la conferma dei

60 potenziali nuovi farmaci in grado di stimolare la crescita dei neuroni Rett. A tale scopo, ho testato i 60 farmaci a tre diverse concentrazioni. Dopo quattro ripetizioni del test a tre concentrazioni, per un totale di oltre 400 colture neuronali analizzate, sono risultati confermati ben 14 farmaci. **Siamo quindi giunti a un punto cruciale del progetto:** si tratta adesso di sottoporre queste molecole ad una serie di test ancora più selettivi da superare e di studiarne il meccanismo di azione, per identificare i più promettenti per un futuro test clinico. Per fare ciò ci muoveremo su più fronti, verificando gli effetti di questi farmaci sugli aspetti funzionali e testare le stesse molecole su neuroni più maturi.

Elena Albizzati

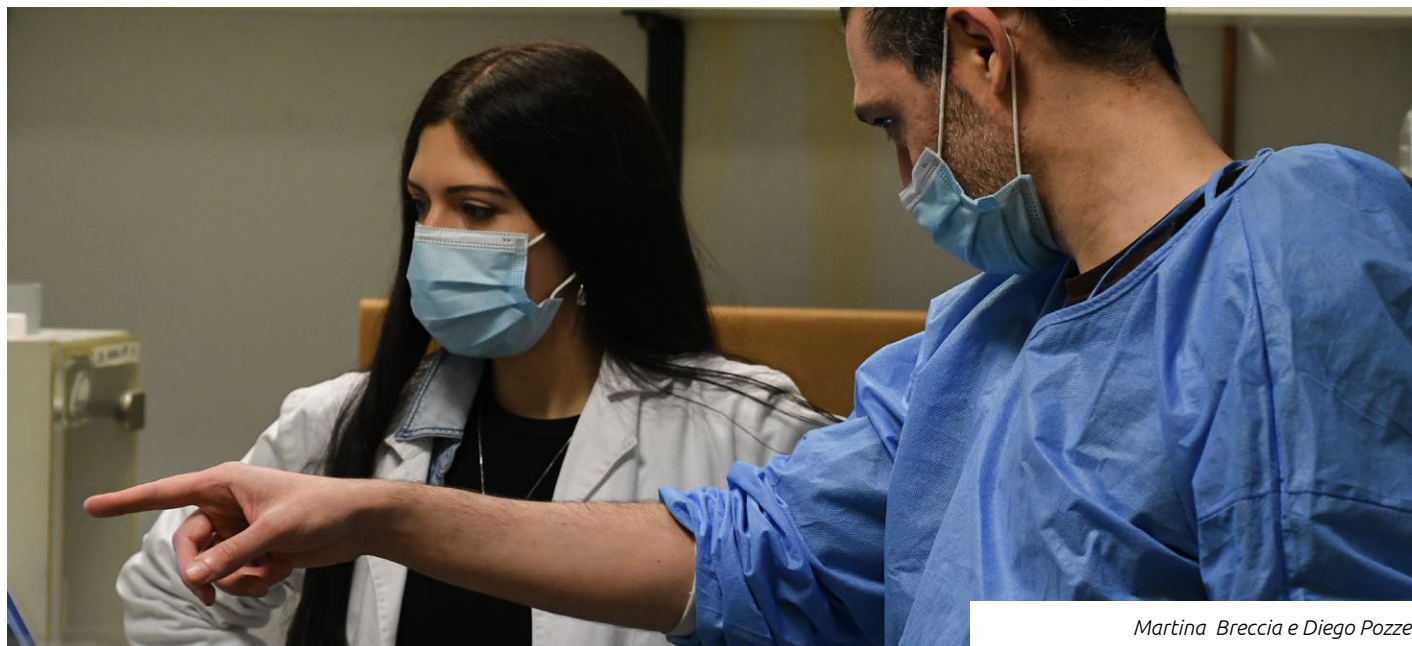


## ALLA RICERCA DEL MIGLIOR BERSAGLIO FARMACOLOGICO

*di Elena Albizzati - PhD Student,  
Università degli studi di Milano*

Lavoro come ricercatrice presso il Laboratorio di biologia molecolare e cellulare applicata alle patologie del neurosviluppo dell'Università di Milano. Mi sono approcciata per la prima volta al mondo Rett nel 2017, quando ho iniziato il mio percorso di Dottorato in Medicina sperimentale **nel gruppo di ricerca della prof.ssa Landsberger** grazie a una borsa di studio stanziata dall'università. In questi anni mi sono occupata di approfondire le conoscenze riguardo a un nuovo ed emergente aspetto della malattia, che coinvolge cellule che hanno un ruolo di primaria importanza per il funzionamento del sistema nervoso centrale accanto ai neuroni: gli astrociti. Una decina di anni fa è stato dimostrato infatti che Mecn2 è normalmente espresso anche negli astrociti e questa loro espressione in un sistema nervoso che ne è totalmente privo è in grado da sola di recuperare gran parte dei difetti dovuti alla mancanza di questo gene. Grazie al progetto in corso siamo riusciti a dimostrare in modelli animali di malattia che i difetti astrocitari sono presenti ben prima del manifestarsi dei tipici sintomi Rett e che progrediscono con l'età a seconda dell'area cerebrale.

Inoltre, un alterato rilascio di molecole da parte degli astrociti mutati non permette un corretto sviluppo dei neuroni sani. Questi risultati sottolineano ulteriormente l'importanza di studiare la malattia in un contesto più ampio di quello neuronale e la necessità di dover correggere a diversi livelli i meccanismi di comunicazione cellula-cellula. Negli ultimi mesi, in particolare, ci siamo focalizzati sull'individuare la natura del/dei fattori astrocitari responsabili della difettiva maturazione neuronale, con lo scopo di validare nel prossimo futuro il miglior bersaglio farmacologico e proseguire con studi preclinici. Il nostro obiettivo finale, infatti, è quello di proporre un'innovativa ed efficace terapia alla Rett. Tutti i risultati descritti in precedenza non si sarebbero potuti ottenere senza il quotidiano sostegno economico fornito da Pro RETT Ricerca, alla quale rivolgo dunque un personale ringraziamento.



Martina Breccia e Diego Pozzer

## TESTARE UN NUOVO E PROMETTENTE FARMACO PER LA RETT

di **Diego Pozzer - PhD, Università degli Studi di Milano, IRCCS Ospedale San Raffaele di Milano**

Un nuovo progetto, frutto della recente collaborazione tra un'importante azienda biofarmaceutica italiana ed i nostri centri di ricerca, ha aperto interessanti prospettive sull'utilizzo di un nuovo farmaco per il trattamento della sindrome di Rett. L'idea alla base di questa linea di indagine si basa sul fatto che questa molecola risulta deficitaria nel sistema nervoso dei pazienti, motivo per il quale una sua somministrazione prolungata potrebbe sortire effetti positivi in grado di curare o alleviare i sintomi della sindrome di RETT. Dopo il dottorato alla Open University del Regno Unito, svolgendo l'attività nell'Istituto Mario Negri di Milano, grazie al contributo di Pro RETT Ricerca sono entrato nel team dell'Ospedale San Raffaele di Milano come assegnista di ricerca proprio per occuparmi di questa indagine. **L'obiettivo primario è quello di analizzare il possibile effetto benefico della somministrazione di un nuovo farmaco** per la sindrome di RETT nel nostro modello animale, cercando anche di comprendere se tale effetto possa essere presente sia nel caso in cui la RETT si trovi in uno stato già avanzato oppure precoce. Queste informazioni potranno quindi essere in grado di indicare non solo se il nuovo farmaco possa essere proposto come trattamento per i pazienti, ma anche per individuare la migliore finestra terapeutica durante la quale effettuare il trattamento. Nell'intento di potenziare l'attività di ricerca è stata da poco aggiunta al team anche la dr.ssa Martina Breccia, precedentemente tesista presso lo stesso laboratorio.

## REGOLARE L'AUTOFAGIA DELLA RETT

di **Martina Breccia - Borsista, IRCCS Ospedale San Raffaele di Milano**

Ho svolto la mia tesi di laurea magistrale presso il Rett Research Center del San Raffaele di Milano, prendendo parte a un progetto focalizzato sullo studio di un processo necessario per il corretto funzionamento delle cellule chiamato "autofagia".

L'autofagia è particolarmente importante per garantire l'ottimale differenziamento e maturazione delle cellule neuronali.

I risultati ottenuti hanno evidenziato un blocco di questo complicato meccanismo in modelli in vitro e in vivo della sindrome di Rett.

Attraverso la somministrazione di una molecola in grado di regolare l'autofagia, **è stato osservato un miglioramento dei difetti tipici della patologia** nei modelli studiati. La ricerca, date le promettenti evidenze, è tutt'ora in corso.

Dopo la laurea, il mio lavoro presso il laboratorio del San Raffaele è stato possibile grazie a una borsa di ricerca sostenuta da Pro RETT Ricerca con l'obiettivo di potenziare l'organico per il raggiungimento degli obiettivi prefissati. In questo nuovo percorso affiancherò quindi il dr. Diego Pozzer vista la sua esperienza di ricerca sui modelli animali sul mantenimento e trattamento di colture cellulari neuronali.

## BOMBONIERE SOLIDALI DI PRO RETT RICERCA



Sono diversi anni che Giovanna Lembo, una delle nostre mamme e membro del Consiglio Direttivo, si occupa di confezionare le bomboniere solidali di Pro RETT Ricerca per le famiglie che ne fanno richiesta. È un lavoro molto impegnativo, ma l'idea che la nostra causa raggiunga persone che non conoscono la sindrome di Rett o l'urgenza di trovare la cura possibile riesce a motivarla a non desistere. Nel caso siate interessati a maggiori informazioni su questa iniziativa vi invitiamo a scriverci una mail all'indirizzo [segreteria@prorett.org](mailto:segreteria@prorett.org) per un confronto sulle possibilità e le tempistiche. Le nostre bomboniere solidali sono accompagnate da un cartiglio personalizzato per ogni occasione, che siano matrimoni, comunioni o battesimi. Non è previsto un costo fisso, ma una donazione libera che destineremo ai laboratori per finanziare i progetti di ricerca sulla sindrome di Rett.

di Marco Maguolo, Comitato Genitori dell'I.C. Goldoni di Martellago (VE)

## 3 INIZIATIVE PER FINANZIARE LA RICERCA SULLA SINDROME DI RETT



*Abbiamo chiesto a Marco Maguolo, Marco Carraro e Mariuxi Erazo, i genitori del Comitato della scuola di Martellago, di raccontarci brevemente la storia delle loro tante donazioni per la Pasqua appena trascorsa. Ecco il loro breve racconto:*

Il Comitato Genitori dell'Istituto Comprensivo Goldoni di Martellago, visto l'affetto per la piccola Cloe e la vicinanza di mamma Daniela, ha deciso di destinare i proventi delle sue iniziative per la Pasqua 2021 a Pro RETT Ricerca.

La prima iniziativa è stata quella di incoraggiare le famiglie della scuola all'acquisto delle uova di Pasqua solidali proposte dall'associazione. Visto il successo e la partecipazione, abbiamo deciso di regalare a tutti gli studenti dei tre plessi scolastici - infanzia, primaria e secondaria - un ovetto di cioccolato prodotto da un'azienda artigiana

locale: un piccolo ovetto, per ciascun alunno, che grazie al contributo di tutti i genitori ha portato a raccogliere un'altra importante donazione che finanzierà i ricercatori impegnati a trovare una cura per la sindrome di Rett.

La terza iniziativa, invece, era legata a un progetto di videoracconto che i genitori della scuola dell'infanzia e di alcune classi della primaria hanno creato in occasione dello scorso Natale.

Partendo dalla sinossi della storia ANCORA UN ALTRO "VORREI..."! sono state estrapolate delle tracce che sono servite da guida ai racconti improvvisati dai narratori. Ai genitori che hanno dato la loro disponibilità a diventare narratori è stato chiesto di video-riprendersi mentre raccontavano una porzione di storia (circa 1 minuto di video). In particolare, è stata data loro una traccia, che hanno poi sviluppato, creando la continuità con il frammento di storia raccontato dal narratore precedente e passando la parola al successivo; di fatto, un racconto a staffetta basato su un canovaccio. I video sono stati fatti in situazioni di vita quotidiana e in contesti diversi, ad esempio mentre si svolgeva un'attività abituale come stirare, lavorare o cucinare. La fantasia, la diversità e l'improvvisazione sono stati gli ingredienti principali per costruire situazioni interessanti ed ironiche. Ad altri genitori, con attitudini nel disegno, è stato chiesto di collaborare con delle illustrazioni per descrivere la storia. Il progetto si è completato anche con la scrittura di una canzone e di musiche inedite scritte ad hoc.

Il primo obiettivo è stato quello di consegnare alle maestre il videoracconto, da condividere con gli studenti. Abbiamo poi realizzato un libro illustrato da poter usare con i bambini per "rileggere" la storia in infiniti modi diversi. Visto l'entusiasmo dei genitori, abbiamo ristampato il libro e devoluto tutto il ricavato delle vendite a Pro RETT Ricerca.



Vogliamo ringraziare tutti i Consiglieri del **Comune di Primaluna, in Provincia di Lecco** e nel cuore della Valsassina, per averci donato tutti i gettoni di presenza con l'obiettivo di sostenere la ricerca sulla sindrome di Rett e di trovare una cura a questa malattia. Con l'occasione vogliamo estendere il nostro "grazie" alle tante famiglie e realtà della Valsassina. Gran parte dei fondi raccolti ogni anno dalla nostra associazione, infatti, viene dal loro territorio; un territorio in cui la nostra Margherita Baruffaldi è riconosciuta e amata da tutti. Margherita è un simbolo di speranza per il futuro; un futuro in cui noi crediamo fortemente e che permetterà a tutte le bambine nate con la sindrome di Rett di avere una vita normale.

### Un pro memoria per te o per il tuo commercialista

**Destinare il 5X1000 a Pro RETT Ricerca** significa finanziare la ricerca scientifica sulla sindrome di Rett, una grave malattia genetica che si manifesta nella prima infanzia e colpisce esclusivamente le bambine, che perdono progressivamente quasi tutte le abilità acquisite in precedenza: non riescono più a parlare, a usare le mani e spesso nemmeno camminare.

Aiuta **Pro RETT Ricerca** a trovare una cura, firmando sulla tua Dichiarazione dei Redditi nel riquadro a **Sostegno delle Organizzazioni Non Lucrative di Utilità Sociale** e inserisci il Codice Fiscale:

**93 043 680 201**





© Pietro Muzi Falconi  
 dr.ssa Martina Breccia, Borsista  
 Rett Research Center Unit  
 IRCCS Ospedale San Raffaele di Milano

Gemma

# PERCHÉ LA CURA È POSSIBILE

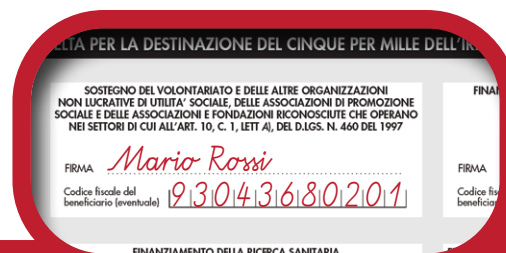
**DESTINARE IL 5X1000 A PRO RETT RICERCA** significa sostenere economicamente la ricerca scientifica sulla sindrome di Rett, una grave malattia genetica che si manifesta nella prima infanzia e **colpisce esclusivamente le bambine**, che perdono progressivamente quasi tutte le abilità acquisite in precedenza: non riescono più a parlare, a usare le mani e spesso nemmeno camminare.

Nel 2007 è stato dimostrato che la sindrome di Rett **non è irreversibile**: una cura per le nostre figlie è possibile.

Fin dal 2004 contribuiamo a sostenere i laboratori che studiano questa malattia e **nel 2021, CON IL TUO AIUTO, destineremo i fondi raccolti a tre specifici progetti di ricerca:**

- Un approccio terapeutico per la sindrome di Rett attraverso cellule e precursori neurali  
*c/o Università degli Studi di Milano*
- Screening farmacologico cellulare e molecolare per la terapia della sindrome di Rett *c/o San Raffaele Rett Research Center*
- Centro Drug Screening in vitro Pro RETT RICERCA  
*c/o Università degli Studi di Trieste*

*Sempre nel 2021, grazie alla vostra firma sul 5X1000, riusciremo a promuovere una collaborazione tra i laboratori di Milano e di Trieste per far progredire più speditamente la sperimentazione di farmaci sui modelli pre-clinici, in preparazione di una possibile futura sperimentazione clinica.*



## CON IL TUO 5X1000

Aiuta **Pro RETT Ricerca** a trovare una cura, firmando sulla tua Dichiarazione dei Redditi nel riquadro a **Sostegno delle Organizzazioni Non Lucrative di Utilità Sociale** e inserisci il Codice Fiscale: **93 043 680 201**

**PRO  
 RETT**  
 RICERCA

**Pro RETT Ricerca**  
 Associazione per la ricerca  
 sulla sindrome di Rett Onlus  
 Via XXV Aprile, 52  
 46028 Sermide e Felonica (MN)

[www.prorett.org](http://www.prorett.org) | [info@prorett.org](mailto:info@prorett.org) | [f](https://www.facebook.com/prorettricerca) prorettricerca