

TITOLO MODULO	Nuove tecnologie negli studi preclinici
RESPONSABILE MODULO	Prof. Francesco Piacente
SETTORE SCIENTIFICO DISCIPLINARE	BIOS-07/A - Biochimica
DESCRIZIONE MODULO (italiano e inglese)	
<p>Nel modulo proposto verranno discusse da esperti del settore le nuove applicazioni tecnologiche nella ricerca nel campo delle scienze della vita, in particolare per applicazioni nella progettazione di nuovi farmaci, nell'immunologia, nella virologia, enzimologia e nella ricerca di nuovi approcci terapeutici. L'ultimo decennio ha visto lo sviluppo di nuove metodologie in biologia molecolare e biochimica che, insieme alla diffusa disponibilità di potenza di calcolo, hanno supportato la notevole crescita di studi cristallografici e di microscopia elettronica a particella singola di rilevanza biologica. La complessità di tali strutture è in costante aumento e la loro risoluzione sperimentale è spesso a livello atomico. Nel campo della ricerca farmacologica l'applicazione di nuove tecnologie ha permesso di dare un impulso fondamentale: fra queste tecnologie ricordiamo la spettroscopia NMR e la Ultra Performance Liquid Chromatography. La spettroscopia NMR svolge un ruolo ormai cardine nella fase di scoperta, validazione e ottimizzazione di molecole guida, "lead compounds". Le scienze omiche funzionali – Proteomica, Metabolomica e Lipidomica – consentono una caratterizzazione sistematica e quantitativa dei livelli molecolari che definiscono direttamente il fenotipo cellulare. Analizzando in modo globale proteine, metaboliti e lipidi, queste discipline offrono una visione dinamica dello stato fisiopatologico dei sistemi biologici e costituiscono un ponte fondamentale tra genotipo e fenotipo clinico. Gli oligonucleotidi antisenso (ASO) sono brevi sequenze di acidi nucleici in grado di legarsi in maniera specifica all'RNA e modulare così l'espressione proteica. Nati per il trattamento delle malattie genetiche, gli ASO hanno dimostrato un notevole potenziale nel modificare in profondità il decorso di tali patologie. Interagendo in modo selettivo con i trascritti di RNA, gli ASO possono ridurre i livelli di RNA bersaglio, limitando la produzione della proteina corrispondente, oppure modulare lo splicing per ripristinare funzioni proteiche altrimenti compromesse.</p> <p>In this module, experts in the field will discuss new technological applications in life sciences research, particularly for applications in the design of new drugs, immunology, virology, enzymology, and the search for new therapeutic approaches. The last decade has seen the development of new methodologies in molecular biology and biochemistry which, together with the widespread availability of computing power, have supported the remarkable growth of crystallographic studies and single-particle electron microscopy of biological relevance. The complexity of these structures is constantly increasing and their experimental resolution is often at the atomic level. In the field of pharmacological research, the application of new technologies has provided a fundamental boost: these technologies include NMR spectroscopy and Ultra Performance Liquid Chromatography. NMR spectroscopy now plays a key role in the discovery, validation, and optimization of lead compounds. Functional omics sciences—proteomics, metabolomics, and lipidomics—enable systematic and quantitative characterization of the molecular levels that directly define the cellular phenotype. By analyzing proteins, metabolites, and lipids holistically, these disciplines offer a dynamic view of the pathophysiological state of biological systems and form a fundamental bridge between genotype and clinical phenotype. Antisense oligonucleotides (ASOs) are short sequences of nucleic acids that can bind specifically to RNA and thus modulate protein expression. Developed for the treatment of genetic diseases, ASOs have shown considerable potential in profoundly modifying the course of such diseases. By selectively interacting with RNA transcripts, ASOs can reduce target RNA levels, limiting the production of the corresponding protein, or modulate splicing to restore otherwise compromised protein functions.</p>	