

SCHEDA

Fondazione Italiana di Ricerca per la SLA - Sclerosi Laterale Amiotrofica Ente del Terzo Settore

AriSLA ETS rappresenta il principale ente non profit in Italia che finanzia esclusivamente ricerca scientifica sulla SLA, malattia neurodegenerativa progressivamente invalidante, con l'obiettivo di trovare al più presto terapie efficaci per contrastarla.

Presidente di AriSLA è Lucia Monaco; Responsabile scientifico è Anna Ambrosini.

AriSLA è nata nel dicembre 2008 grazie alla lungimiranza di quattro realtà eccellenti in campo scientifico e filantropico, unite dalla fiducia nella ricerca quale strumento per vincere la sfida contro la SLA: **AiSLA Aps - Associazione Italiana Sclerosi Laterale Amiotrofica, Fondazione Cariplo, Fondazione Telethon ETS, Fondazione Viali e Mauro per la Ricerca e lo Sport Onlus.**

Nel 2022 è stata riconosciuta **Ente del Terzo Settore** e a dicembre 2024 è entrata a far parte dell'**International Alliance of ALS/MND Associations**, la più grande alleanza tra associazioni a livello mondiale, aderendo al **Forum dei Direttori della Ricerca**.

Dal 2009 ad oggi AriSLA ha emesso 19 bandi competitivi, investendo in attività di ricerca scientifica 17,81 milioni di euro e sostenendo 165 ricercatori, distribuiti su tutto il territorio nazionale.

Sono stati finanziati complessivamente **121 progetti di ricerca scientifica**:

- 76 progetti di ricerca di base
- 27 progetti di ricerca preclinica e traslazionale
- 14 progetti di ricerca clinica
- 4 progetti di ricerca tecnologica

La SLA, l'importanza di fare ricerca e i risultati della ricerca AriSLA

➤ La SLA

È una malattia una malattia neurodegenerativa grave progressivamente invalidante, dovuta alla compromissione dei motoneuroni, le cellule nervose che stimolano la contrazione muscolare permettendo il movimento e altre funzioni importanti come la respirazione, la deglutizione o la fonazione. **Nel tempo immobilizza la persona colpita, arrivando a comprometterne le funzioni vitali.**

I sintomi e la progressione sono molto variabili e anche la sua diagnosi è spesso difficile: la SLA colpisce solitamente persone di età compresa tra i 40 e i 70 anni; **si stima che in Italia vi siano circa 6.000 persone affette, con 2-3 nuove diagnosi ogni 100.000 abitanti.**

Non esistono ad oggi terapie efficaci in grado di arrestare o rallentare significativamente la malattia. L'unico farmaco attualmente approvato in Italia per la cura della SLA è il **Riluzolo**, in grado di rallentare di alcuni mesi il decorso della malattia. Nel 2023 la FDA americana e successivamente anche l'Agencia europea per i medicinali (EMA) e quella italiana (AIFA) hanno approvato il farmaco **Tofersen**, la prima terapia per i pazienti SLA con una mutazione nel gene SOD1.

➤ RICERCA FINANZIATA DA ARISLA

La Fondazione supporta la ricerca in settori diversi, ma complementari. È stata finanziata principalmente **ricerca di base** con l'investimento di 9,43 milioni di euro. Nella **ricerca preclinica e traslazionale**, che costituiscono il ponte tra la ricerca di base e la ricerca clinica, favorendo il trasferimento in clinica dei risultati scientifici ottenuti in laboratorio, sono stati investiti 4,70 milioni di euro. Sono stati dedicati 2,89 milioni di euro ai progetti di **ricerca clinica**. In particolare, sono stati supportati 4 trial di Fase II, basati sul riposizionamento di farmaci (utilizzo di medicinali già approvati per altre patologie), 10 studi osservazionali incentrati sulla diagnosi o sui biomarcatori predittivi e prognostici. AriSLA ha supportato anche la **ricerca tecnologica**, con lo scopo di fornire dispositivi e attrezzature utilizzati per preservare, aumentare e supportare le capacità funzionali e di autonomia del paziente: sono stati sostenuti 4 progetti di ricerca tecnologica, per un valore complessivo di circa 0,79 milioni di euro.

Il **Comitato di Indirizzo scientifico** (Advisory Board), supporta la Fondazione ed in particolare l'ufficio scientifico nella definizione delle aree di finanziamento. Grazie alla loro preziosa collaborazione vengono individuate le priorità strategiche per la ricerca, al fine di allocare le risorse economiche disponibili in ambiti di intervento ritenuti prioritari e necessari. Il Comitato è **composto da** esponenti autorevoli della ricerca scientifica e delle organizzazioni internazionali che si occupano di SLA: Stanley H. **Appel**, Lucie **Bruijn**, Brian **Dickie**, Piera **Pasinelli** e David **Taylor**.

➤ PIANO STRATEGICO DELLA RICERCA DI ARISLA

La Fondazione ha tracciato un **pluriennale Piano strategico della ricerca 2023-2025**, frutto sia delle priorità fissate dal Consiglio di amministrazione e dal Consiglio di indirizzo scientifico di AriSLA, che delle attente valutazioni ed analisi sull'**impatto della ricerca finanziata** negli ultimi anni, oggetto anche di una recente pubblicazione di AriSLA sulla rivista scientifica "Frontiers in Research Metrics and Analytics". Dal confronto con gli stakeholders è emersa la volontà di **consolidare quanto di buono fatto** a supporto della migliore ricerca scientifica sulla SLA e allo stesso tempo di tradurre in azioni concrete i bisogni espressi dai differenti stakeholder nella fase di confronto, andando a **indirizzare e sostenere una ricerca con maggiore potenzialità di ricaduta sui pazienti**.

L'obiettivo perseguito è quello di **raggiungere nuovi risultati tangibili per migliorare la qualità di vita delle persone, accelerando l'identificazione di interventi efficaci** per la diagnosi, il trattamento e la prevenzione della SLA. La priorità è sostenere la collaborazione tra ricercatori di base e clinici per **proiettare la ricerca** verso una "**ricerca clinicamente informata**" che parta dalle caratteristiche dei pazienti, per ottenere risultati che abbiano maggiore impatto sulla clinica.

Gli ultimi quattro Bandi di finanziamento di AriSLA hanno recepito le priorità strategiche.

➤ VALUTAZIONE DELLA RICERCA

I progetti scientifici sono selezionati tramite un processo rigoroso definito *peer-review*. Con questo metodo, la valutazione scientifica è **condotta da colleghi esperti del campo** (definiti "peer" o "pari"), che verificano che il **progetto risponda a dei criteri di qualità, originalità, innovazione e fattibilità, a garanzia di una buona riuscita della ricerca**. Questo metodo costituisce l'approccio tuttora più accreditato presso la comunità scientifica per **garantire una selezione basata sul merito scientifico e sui principi di trasparenza, oggettività e terzietà**. Il processo si svolge in varie fasi per portare al CDA una graduatoria dei migliori progetti selezionati.

Per la selezione delle proposte di ricerca da finanziare, la Fondazione si avvale del supporto di esperti di ricerca sulla SLA e sulle malattie del motoneurone riconosciuti a livello internazionale, che costituiscono il Comitato Scientifico Internazionale (ISC) di AriSLA: ad oggi hanno collaborato al processo di valutazione oltre 120 ricercatori di base e/o clinici, provenienti da Europa, Stati Uniti d'America, Canada e altri paesi.

➤ **IMPATTO DELLE PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE**

Un'analisi delle pubblicazioni scientifiche derivate dagli studi finanziati da AriSLA è stata condotta attraverso l'interrogazione delle banche dei dati bibliometrici. Ad oggi il portale Web of Science riporta **430 pubblicazioni che riconoscono il finanziamento della Fondazione**. Il numero di queste pubblicazioni testimonia un'ottima produttività scientifica da parte dei ricercatori titolari di progetti della Fondazione e il riconoscimento da parte della comunità internazionale del valore dei risultati conseguiti. Anche le citazioni di queste pubblicazioni da parte di altri ricercatori sono in numero crescente, dimostrando che la ricerca finanziata ha portato a risultati che hanno contribuito ad aumentare la conoscenza scientifica a livello internazionale, fornendo la base per altri studi.

➤ **STORIE DI SUCCESSO**

L'investimento in ricerca d'eccellenza ha prodotto molti risultati. AriSLA ha contribuito al sostegno dei gruppi di lavoro che hanno potuto **consolidare nel tempo una ricerca ad alto impatto internazionale**. La Fondazione ha inoltre avuto la capacità di attrarre l'interesse di ricercatori provenienti da ambiti diversi verso una ricerca mirata sulla SLA.

Gli studi finanziati da AriSLA hanno avuto un significativo **ruolo nella scoperta di nuove mutazioni genetiche che causano la malattia, hanno permesso di indagare sul ruolo di nuove molecole**, mirate a rallentare la progressione della SLA e ad aprire la strada verso una efficace terapia. Il finanziamento di progetti di ricerca tecnologica ha inoltre permesso **la progettazione di strumenti a supporto della vita quotidiana** e di ausili elettronici altamente tecnologici per la comunicazione e la motricità.

AriSLA ha promosso l'avvio di quattro trial multicentrici sulla SLA, favorendo la creazione di un network clinico che coinvolge 25 centri di eccellenza su tutto il territorio nazionale.

Per approfondimenti sulle attività di AriSLA www.arisla.org.