

ALLEGATO B

UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DI MILANO

selezione pubblica per n. 1 posto di Ricercatore a tempo determinato ai sensi dell'art.24, comma 3, lettera b) della Legge 240/2010 per il settore concorsuale 06/N1 Scienze delle Professioni Sanitarie e delle Tecnologie Mediche Applicate, settore scientifico-disciplinare MED46 Scienze Tecniche di Medicina di Laboratorio presso il Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti

(avviso bando pubblicato sulla G.U. n. 23 del 20/03/2020) Codice concorso 4284

Monica Nizzardo **CURRICULUM VITAE**

INFORMAZIONI PERSONALI (NON INSERIRE INDIRIZZO PRIVATO E TELEFONO FISSO O CELLULARE)

COGNOME	NIZZARDO
NOME	MONICA
DATA DI NASCITA	05/06/1980

Posizione attuale: Ricercatore Senior, Contratto Collaborazione Continuativa presso la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano.

Lingue: Inglese ottimo, parlato e scritto; tedesco scolastico; francese scolastico.

A) PERCORSO SCIENTIFICO FORMATIVO

2000 Maturità Scientifica (96/100) presso il Liceo Scientifico di Gallarate (Varese).

2005 Laurea in Biotecnologie il 12/07/2005 (106/110) Università degli Studi di Milano, con una tesi dal titolo: "Effetti del resveratrolo sul pathway di NOTCH1 nelle leucemie acute a cellule T".

2007-2009 Dottorato in Medicina Molecolare il 15/12/2009, Università degli Studi di Milano, con una tesi dal titolo: "Utilizzo e confronto tra cellule staminali neuronali di diversa origine: efficacia terapeutica in un modello murino di atrofia muscolare spinale".

2018 Abilitazione all'albo nazionale dei biologi.

2018 Abilitazione Scientifica Nazionale - MIUR a Professore Associato (II fascia) nel settore concorsuale 06/N1 Scienze delle Professioni Sanitarie e delle Tecnologie Mediche Applicate.

Partecipazione a corsi formativi

2020 Corso introduttivo alla sperimentazione animale, Università degli Studi di Milano.

2016-2017 Public Engagement Course, "A tu per tu con la ricerca" in collaborazione con il Museo della Scienza e della Tecnica Leonardo da Vinci e Fondazione Cariplo.

2011 mRNA Reprogramming Training Course, Sheffield, England.

2010 Endnote Web Course, Milano.

2010 Confocal Microscopy Course Leica, Milano.

2008 Effective Biomedical Writing Course, University of Milan.

B) ATTIVITÀ DIDATTICA A LIVELLO UNIVERSITARIO

La Dott.ssa Nizzardo ha svolto attività di tutor a partire dal 2007 supervisionando le attività correlate all'internato di tesi e/o di frequenza laboratorio di studenti provenienti da diversi corsi di

Laurea dell'Università degli Studi di Milano e di altre Università. Inoltre ha svolto attività didattica tenendo lezioni frontali su argomenti attinenti alle Neuroscienze a partire dall'Anno Accademico (AA) 2016-2017.

1. Corso di Laurea Magistrale a ciclo unico in Medicina e Chirurgia, Università degli Studi di Milano

AA 2016-2017 Lezioni frontali corso elettivo: “Cellule staminali pluripotenti indotte in neurologia” (D-E3S1).

AA 2017-2018 Lezioni frontali corso elettivo: “Cellule staminali pluripotenti indotte in neurologia” (D-E495).

AA 2018-2019 Lezioni frontali corso elettivo: “Cellule staminali pluripotenti indotte in neurologia” (D51).

AA 2019-2020 Lezioni frontali corso elettivo: “Cellule staminali pluripotenti indotte in neurologia” (D-E5AL).

2. Corso di Laurea in Scienze Biotechnologiche Veterinarie, Università degli Studi di Milano
Dal 2009- ad oggi tutor di attività di ricerca

AA 2018-2019: Lezioni frontali all'interno del corso “Cellule Staminali, Modulo Medicina Rigenerativa: principi biologici e procedure di laboratorio” con lezione dal titolo: “Neural Stem Cells as a therapy: challenges and perspectives”.

AA 2019-2020: Lezioni frontali all'interno del corso “Cellule Staminali, Modulo Medicina Rigenerativa: principi biologici e procedure di laboratorio” con lezione dal titolo: “Neural Stem Cells: challenges and perspectives”.

3. Scuola di Dottorato di Medicina Molecolare e Traslazionale, Università degli Studi di Milano

Dal 2009- ad oggi tutor per attività di ricerca

AA 2015-2016 Lezioni frontali all'interno del corso “Acquisizione di conoscenze su MND: eziopatogenesi e terapia molecolare, modelli” con lezione dal titolo: “Terapia genica nelle malattie del motoneurone”.

AA 2016-2017 Lezioni frontali all'interno del corso “Acquisizione di conoscenze su MND: eziopatogenesi e terapia molecolare, modelli” con lezione dal titolo: “Terapia genica nelle malattie del motoneurone”.

AA 2017-2018 Lezioni frontali all'interno del corso “Aspetti clinico/molecolari e di prospettiva terapeutica nelle malattie neurodegenerative” con lezione dal titolo: “Terapia genica e molecolare nelle malattie del motoneurone”.

AA 2019-2020 Lezioni frontali: “Cellule staminali pluripotenti indotte come modello di malattia e applicazioni di terapia genica” con lezione dal titolo “Altri utilizzi delle iPSCs: organoidi 3D e trapianto”.

4. Attività di mentore e tutoraggio dal 2006 di 28 studenti, e 10 dottorandi.

Supervisione attuale di studenti di 1 studente di Biotechnologie, 4 studenti di dottorato, 2 borsisti post-dottorato.

Correlatore e di tesi di Laurea in Biologia (n=1)

Giulia Forotti (2015-2016)	
----------------------------	--

Correlatore di tesi di Laurea in Biotechnologie Mediche e Veterinarie (n=3)

Luca Calandriello (2016-2017)	Elisa Pagliari (2018-2019)
Giovanna Gaburri (2019-2020)	

Correlatore di tesi di Laurea in Medicina e Chirurgia (n=3)

Sebastiano Crisafulli (2015-2016)	Silvia Tamaini (2016-2018)
Andrea Restivo (2019-present)	

Tutor di studenti corso di Laurea in Biotecnologie (n=6)

Alessandro Farinato (2009-2010)	Paola Rinchetti (2013-2014)
Luca Calandriello (2016-2017)	Noemi Galli (2017-2018)
Elisa Pagliari (2018-2019)	Giovanna Gaburri (2019-2020)

Tutor di studenti del corso di Laurea in Farmacia (n=1)

Mafalda Rizzuti (2013-2014)	
-----------------------------	--

Tutor di studenti nel corso di Laurea in Medicina e Chirurgia (n=18)

Arianna Tucci (2007-2008)	Francesca Gianni (2008-2009)
Nicoletta Mezzina (2008-2009)	Giulietta Riboldi (2009-2010)
Mariya Malova (2010-2011)	Chiara Zanetta (2012-2013)
Irene Faravelli (2012-2013)	Emanuele Frattini (2013-2014)
Francesca Porro (2013-2014)	Fiammetta Vanoli (2014-2015)
Francesco Tafuri (2014-2015)	Sebastiano Crisafulli (2015-2016)
Martina Locatelli (2016-2017)	Silvia Tamaini (2016-2018)
Martina Perego (2017-2018)	Matteo Saladini (2017-2018)
Davide Resnati (2018-2019)	Andrea Restivo (2019-present)

L'elaborato di tesi di Fiammetta Vanoli, Martina Locatelli e Davide Resnati ha vinto il "Premio Fondazione Grazioli" ISTITUTO LOMBARDO ACCADEMIA DI SCIENZE E LETTERE.

Tutor di studenti nel corso di Laurea in Medicina e Chirurgia per il progetto Virgilio (n=2):

Simone Scarcella (2019-2020)	Federica Paredi (2019-2020)
------------------------------	-----------------------------

Tutor di studenti nel corso di Dottorato in Medicina Traslazionale (n=10)

Marianna Falcone (2008-2011)	Chiara Simone (2008-2011)
Federica Rizzo (2011-2014)	Monica Bucchia (2013-2016)
Agnese Ramirez (2014-2017)	Paola Rinchetti (2016-2019)
Fabio Biella (2017-oggi)	Margherita Bersani (2018-oggi)
Elisa Pagliari (2019-oggi)	Irene Faravelli (2019-oggi)

5. Attività Seminariale:

26/03/2018 Seminario Liceo Scientifico Monza "Cellule staminali pluripotenti indotte e motoneuroni derivati da paziente per studiare la Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA)".

22/02/2019 Seminario Liceo Scientifico Ballerini Seregno: "Cellule staminali pluripotenti indotte e motoneuroni derivati da paziente per studiare la Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA)".

6. Attività di Esercitazioni Pratiche

29/09/2017: "Notte dei ricercatori" presso Museo della Scienza e della Tecnica Leonardo Da Vinci, laboratorio "Vita da cellule un sorprendente caos ordinato".

28/09/2018: "Notte dei ricercatori" presso Museo della Scienza e della Tecnica Leonardo Da Vinci, laboratorio "Di cellula in cellula".

28/02/2019 presso Aula Crociera Alta, Università degli Studi di Milano, via Festa del Perdono, Milano: “Giornata delle malattie rare: alla scoperta delle cellule neuronali in un laboratorio di ricerca” (Scuola media dell’Istituto comprensivo De Andreis, plesso Ascoli di Milano).

28/02/2019 presso Scuola Primaria A. Scarpa, via Clericetti, Milano: “Giornata delle malattie rare: alla scoperta delle cellule in un laboratorio di ricerca”.

13/03/2019 presso la Scuola dell’infanzia paritaria Alessandro Volta di Lecco: “Giornata della scienza: Scopriamo l’inVISIBILE!”.

20/03/2019 Scuola d’Infanzia paritaria Pioltello “Giornata della scienza: Scopriamo l’inVISIBILE!”.

C) ATTIVITA’ DI FORMAZIONE E DI RICERCA PRESSO QUALIFICATI ISTITUTI ITALIANI E STRANIERI

Dopo la formazione pre-laurea (2003-2005) presso il Dipartimento di Scienze e Tecnologie dell’Università degli Studi di Milano nel Laboratorio di Patologia Generale interessato all’ambito oncologico delle leucemie acute a cellule T, sotto la supervisione della Prof.ssa Paola Comi, **dal 2005 la Dott.ssa Nizzardo si è dedicata ad un’attività scientifica e di ricerca nell’ambito delle malattie neurologiche in particolare delle malattie neurodegenerative e neuromuscolari** presso il laboratorio di Cellule Staminali Neurali diretto dalla Prof.ssa Corti con doppia affiliazione Fondazione IRCCS Ca’ Granda Ospedale Maggiore Policlinico, unità di Neurologia diretta dal Prof. Bresolin e Università degli Studi di Milano, Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti. Nello specifico, nell’anno accademico **2005-2006** ha ottenuto una **borsa di studio** presso l’Università degli Studi di Milano, avente come oggetto lo studio delle cellule staminali nel contesto della neurodegenerazione, studio che è continuato all’inizio del percorso di **dottorato** svolto nel periodo **2007-2009** all’interno della Scuola di Dottorato di Medicina Molecolare presso lo stesso Dipartimento. Lo studio si è quindi esteso dapprima alla valutazione dell’efficacia terapeutica delle cellule staminali neuronali di diversa origine in un modello murino di atrofia muscolare spinale (SMA) per poi andare ad esplorare l’importanza dello stress ossidativo e dei fattori di protezione in modelli cellulari di neurodegenerazione.

Tra il 2008 e il 2012 la Dott.ssa Nizzardo è stata titolare di un **assegno di ricerca di tipo A** presso lo stesso laboratorio e Dipartimento dell’Università degli Studi di Milano seguendo un progetto avente come obiettivo lo sviluppo di un approccio combinato con cellule staminali e molecole modulatorie dello splicing come strategia terapeutica per la SMA. In questo stesso arco temporale, la Dott.ssa Nizzardo ha trascorso un periodo di ulteriore formazione e scambio come **Visiting Researcher nel novembre 2011** presso la Division of Neuromuscular Research and Gene Therapy, Dipartimento di Pediatria del Research Institute del Nationwide Children’s Hospital della Ohio State University a Columbus, Ohio, negli Stati Uniti. Qui la Dott.ssa Nizzardo ha iniziato un progetto in collaborazione con il Prof. Brian Kaspar e la Prof.ssa Kathrin Meyer per lo sviluppo di una strategia di terapia genica nella SMARD1, che continua ancora oggi e che si è evoluto in un deposito di brevetto internazionale e in un trial clinico che inizierà a fine 2020 come collaborazione tra il Nationwide Children’s Hospital, l’Università degli Studi di Milano e l’IRCCS Fondazione Ca’ Granda Ospedale Maggiore Policlinico.

Nel contesto di questo progetto, **tra il gennaio 2013 e il settembre 2016** la Dott.ssa Nizzardo è stata **titolare di un contratto di collaborazione coordinata e continuativa come ricercatore** con l’IRCCS Fondazione Cà Granda-Ospedale Maggiore Policlinico supportato da un finanziamento del Ministero della Salute- Finalizzata Giovani Ricercatori avente lo scopo di sviluppare una terapia genica per la SMARD1. Per raggiungere questo obiettivo, **nel gennaio 2013** ha trascorso un periodo come **Visiting Researcher** presso il Dipartimento di Chimica e Biochimica dell’Università di Berna in Svizzera nel laboratorio del Prof. Oliver Muehlethmann per sviluppare costrutti virali da utilizzare in cellule riprogrammate (iPSC) e differenziate in senso neuronale come modello per lo

studio di malattie neurologiche.

Tra l'ottobre 2016 e il settembre 2018 è stata titolare di un **assegno di ricerca di tipo B** presso l'Università degli Studi di Milano, sempre nello stesso Laboratorio e Dipartimento, legato al finanziamento Cariplo Giovani Ricercatori ottenuto dalla Dott.ssa Nizzardo per studiare il contributo delle alterazioni patogeniche a carico di tRNA e rRNA in modelli preclinici di SMARD1.

Tra il 2014 e il 2017 la Dott.ssa Nizzardo ha inoltre trascorso alcuni periodi all'estero come **Visiting Researcher** presso il Motor Neuron Center della Columbia University di New York negli Stati Uniti all'interno di un progetto di collaborazione Europa-USA sponsorizzato dal Settimo Programma Quadro per il progetto "Transferring Non autonomous cell degeneration models". La collaborazione con tale centro è costantemente attiva e mantenuta da interscambi di ricercatori e tecnologie.

Da ottobre 2018 a oggi continua a operare nel Laboratorio di Cellule Staminali Neurali (UNIMI/Policlinico) con **contratto di collaborazione coordinata e continuativa come ricercatore** dell'IRCCS Fondazione Cà Granda-Ospedale Maggiore Policlinico supportato da un finanziamento del Ministero della Salute-Finalizzata Giovani Ricercatori di cui la Dott.ssa Nizzardo è Principal Investigator per implementare un nuovo approccio di terapia genica per la SMARD1, paragonando diverse vie di somministrazione e gli effetti della terapia nelle diverse fasi della malattia.

Dal settembre 2005 la Dott.ssa Nizzardo ha contribuito alla nascita e alla crescita del Laboratorio di Cellule Staminali Neurali diretto dalla Prof.ssa Stefania Corti (<http://www.centrodinoferrari.com/laboratori/laboratorio-di-cellule-staminali-neurali/>) con cui ha intessuto una proficua e solida collaborazione. **Dal dicembre 2009** è senior member del Laboratorio e supervisor di tutte le attività di ricerca nel medesimo. Il Laboratorio di Cellule Staminali Neurali costituisce una delle strutture di ricerca del Centro Dino Ferrari e dell'Università degli Studi di Milano ed ha sede presso la Palazzina Sforza e il Padiglione Invernizzi della Fondazione Cà Granda-Ospedale Maggiore Policlinico.

Nei primi anni la Dott.ssa Nizzardo ha contribuito allo sviluppo di strategie terapeutiche cellulari di origine murina in malattie del motoneurone ad esordio infantile quali la SMA (J Clin Invest 2008, Brain 2010) e la SMARD1 (Hum Mol Genet 2006, J Neurosci. 2009) contribuendo anche allo sviluppo di tali strategie in forme motoneuronali dell'adulto come la sclerosi laterale amiotrofica (SLA) (Brain 2007, Hum Mol Genet 2010). A partire dal 2009 la Dott.ssa Nizzardo ha iniziato un'intensa attività di ricerca traslazionale nell'ambito dello sviluppo di approcci terapeutici con cellule staminali pluripotenti indotte (iPSC) paziente-specifiche (Sci Transl Med 2012) ampliando la dimostrazione dell'efficacia terapeutica di tali cellule in ambito pre-clinico nel contesto SMA e SMARD1 (Stem Cell Reports 2014, Exp. Neurol 2019), nonché nel contesto della SLA (Hum Mol Gen 2014-2016). Inoltre, attraverso lo studio dei meccanismi molecolari, utilizzando motoneuroni differenziati *in vitro* a partire da iPSC, ha contribuito alla raccolta di molte evidenze funzionali dell'importante ruolo di alcuni geni nello sviluppo di queste patologie, aprendo la possibilità a nuove strategie terapeutiche (Sci Rep 2015-2016-2017-2018, Brain 2019, Acta Neuropathol 2020). Inoltre, la Dott.ssa Nizzardo ha dedicato il suo interesse di ricerca ad approcci terapeutici molecolari per la SLA ed altre patologie degenerative neuromuscolari dell'età giovanile basati ad esempio sull'utilizzo di small interfering RNA (Ann Neurol 2007). Questo iniziale approccio si è poi evoluto nell'uso di terapie di trasferimento genico mediante vettori virali adeno-associati (AAV) (Sci Adv 2015, Acta Neuropathol 2020) o di inibizione dell'espressione di proteine o molecole patogenetiche con oligonucleotidi antisense con chimica morfolino (Clin Ther 2014, Sci Rep 2016, Int J Mol Sci 2018, Prog Neurobiol 2020), una delle quali attualmente sottoposta a copertura brevettuale.

La Dott.ssa Nizzardo ha inoltre contribuito allo sviluppo di altri importanti progetti dedicati allo studio dei meccanismi molecolari coinvolti in altre neuropatie ereditarie tra cui la Charcot Marie Tooth Type 2A (CMT2A) (Hum Mol Genet 2016).

La professionalità scientifica acquisita nel campo delle cellule staminali pluripotenti e della terapia genica o molecolare applicata a malattie del motoneurone è riconosciuta a livello nazionale ed internazionale, come attestato anche dalle partecipazioni a congressi e convegni come invited speaker, nonché dai progetti collaborativi in corso.

La ricerca della Dott.ssa Nizzardo è attualmente focalizzata sulle seguenti principali linee di ricerca.

- 1) lo studio dei meccanismi molecolari alla base della patogenesi delle malattie del motoneurone (SLA, SMA e SMARD1 e CMT2A) mediante l'uso di cellule derivate da iPSC umane e modelli murini *in vivo*;
- 2) lo studio delle applicazioni delle cellule staminali come terapia per le patologie del motoneurone;
- 3) lo sviluppo di approcci di terapia molecolare e genica per SLA, SMA e SMARD1 e CMT2A;
- 4) lo sviluppo di nuovi modelli 3D del sistema nervoso centrale per lo studio della patogenesi e di nuove terapie per SMA e SLA.

La Dott.ssa Nizzardo è stata Principal Investigator (PI) di **4 progetti con finanziamenti competitivi** di ricerca di base ed è attualmente PI di **2 progetti con finanziamenti competitivi**. La produzione scientifica nell'ambito delle scienze neurologiche, che si sviluppa in modo continuativo dal 2007, consiste in 56 **pubblicazioni** (ricerche sperimentali, review) su riviste internazionali peer reviewed con un **H-index di 25** (Scopus). E' co-inventrice di **due depositi brevettuali** uno avente come oggetto la modulazione di specifici miRNA come terapia per le malattie del motoneurone e l'altro in collaborazione con il Nationwide Children's Hospital Ohio negli Stati Uniti per costrutti virali di terapia genica per la SMARD1.

La Dott.ssa Nizzardo è stata riconosciuta idonea al ruolo di Professore Associato nel settore concorsuale 06/N1 Scienze delle Professioni Sanitarie e delle Tecnologie Mediche Applicate nell'ottobre 2018.

DESCRIZIONE ANALITICA DELL' ATTIVITA' DI RICERCA PRESSO QUALIFICATI ISTITUTI STRANIERI

11/2011 Visiting Scientist presso il Center for Gene Therapy, The Research Institute at Nationwide Children's Hospital/ The Ohio State University, Columbus, Ohio, USA. Prof. Brian Kaspar e Prof. Kathrin Meyer dove ha collaborato nell'ambito del progetto di ricerca "Terapia genica nell'Atrofia Muscolare Spinale con distress respiratorio di tipo 1 (SMARD1)".

05/2013 Visiting Scientist presso il Dipartimento di Chimica e Biochimica dell'Università di Berna (Svizzera), nel laboratorio del Prof. Oliver Muehleemann.

12/2014-2/2015 Visiting Scientist presso il Motor Neuron Center Columbia University New York USA (fellowship sponsorizzata dalla Comunità Europea, 7PQ NO-MND). Tale scambio si inserisce in un progetto di 8 anni (2014-2022) tra la Columbia University e UNIMI, nello specifico il laboratorio Neural Stem Cell Lab di cui la Dott.ssa Nizzardo è membro senior.

11/2016 Visiting Scientist presso il Motor Neuron Center Columbia University New York USA (fellowship sponsorizzata dalla Comunità Europea, 7PQ NO-MND). Tale scambio si inserisce in un progetto di 8 anni (2014-2022) tra la Columbia University e UNIMI, nello specifico il laboratorio Neural Stem Lab.

06/2017 Visiting Scientist presso il Motor Neuron Center Columbia University New York USA (fellowship sponsorizzata dalla Comunità Europea, 7PQ NO-MND). Tale scambio si inserisce in un progetto di 8 anni (2014-2022) tra la Columbia University e UNIMI, nello specifico il laboratorio Neural Stem Lab.

PRODUZIONE SCIENTIFICA:

I risultati della ricerca della Dott.ssa Nizzardo sono stati oggetto di pubblicazioni in riviste scientifiche internazionali e nazionali. Nel corso di questi anni è stata autrice di **56** articoli originali *in extenso* (H index secondo Scopus: **25**; Web of Science H-Index: **25**) con citazioni totali 1.923 (citazioni medie per anno: 148; citazioni medie per pubblicazione: 34,34, impact factor totale 371,54 (impact factor medio per pubblicazione: 6,60) comprensive di:

- **56** articoli originali pubblicati su riviste internazionali e recensite dal Current Contents, di cui **16** come primo/ultimo autore (**28%**)
- **147** abstract originali pubblicati a congressi scientifici nazionali e internazionali
- **8** abstract di comunicazioni a congressi scientifici internazionali
- **9** abstract di comunicazioni a congressi scientifici nazionali
- **2** Seminari e Conferenze ad invito presso Università, Istituzioni
- **1** capitolo di libro: "Intracerebroventricular delivery in mice for Motor Neuron Diseases" "Morpholino Oligomers: Methods and Protocols", 2017, 229-239, Humana Press, doi: 10.1007/978-1-4939-6817-6_19, ISSN: 1064-3745, ISBN:978-1-4939-6815-2.

Pubblicazioni originali su riviste recensite da "Current Contents" (I.F. 2018, Journal Citation Reports, Citazioni riportate secondo Scopus se non diversamente specificato)

1. Loffreda A, **Nizzardo M**, Arosio A, Ruepp MD, Calogero RA, Volinia S, Galasso M, Bendotti C, Ferrarese C, Lunetta C, Rizzuti M, Ronchi A, Mühlemann O, Tremolizzo L, Corti S, Barabino SML. miR-129-5-p: a key factor and therapeutic target in amyotrophic lateral sclerosis. *Prog in Neurobiol*, Accepted **10/04/2020**. **I.F. 10.658, CIT. 0**.
2. Strah N, Romano G, Introna C, Klima R, Marzullo M, Ciapponi L, Megighian A, **Nizzardo M**, Feiguin F. TDP-43 promotes the formation of neuromuscular synapses through the regulation of Disc-large expression in Drosophila skeletal muscles. *BMC Biol.* **2020**; 18(1):34. ISSN: 1741-7007 doi: 10.1186/s12915-020-00767-7. **I.F. 6.723, CIT. 0**.
3. Perego MGL, Galli N, **Nizzardo M**, Govoni A, Taiana M, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Current understanding of and emerging treatment options for spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1 (SMARD1). *Cell Mol Life Sci.* **2020**. ISSN: 1420-682X, doi: 10.1007/s00018-020-03492-0. **I.F. 7.014, CIT. 0**.
4. **Nizzardo M**, Taiana M, Rizzo F, Aguila Benitez J, Nijssen J, Allodi I, Melzi V, Bresolin N, Comi GP, Hedlund E, Corti S. Synaptotagmin 13 is neuroprotective across motor neuron diseases. *Acta Neuropathol.* **2020**. ISSN: 0001-6322, doi: 10.1007/s00401-020-02133-x. **I.F. 18.174, CIT. 1**.
5. Saladini M, **Nizzardo M**, Govoni A, Taiana M, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1: Clinical phenotypes, molecular pathogenesis and therapeutic insights. *J Cell Mol Med.* **2019**. ISSN: 1582-4934, doi: 10.1111/jcmm.14874. **I.F. 4.658, CIT. 0**.
6. Forotti G*, **Nizzardo M***, Bucchia M, Ramirez A, Trombetta E, Gatti S, Bresolin N, Comi GP, Corti S. CSF transplantation of a specific iPSC-derived neural stem cell subpopulation ameliorates the disease phenotype in a mouse model of spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1. *Exp Neurol.* **2019**; 321:113041. ISSN: 0014-4886, doi: 10.1016/j.expneurol.2019.113041. **I.F. 4.562, CIT. 1**, *Co-first authors.
7. Rizzo F*, **Nizzardo M***, Vashisht S, Molteni E, Melzi V, Taiana M, Salani S, Santonicola P, Di Schiavi E, Bucchia M, Bordoni A, Faravelli I, Bresolin N, Comi GP, Pozzoli U, Corti S. Key role of SMN/SYNERP and RNA-Motif 7 in spinal muscular atrophy: RNA-Seq and motif analysis of human motor neurons. *Brain.* **2019**; 142(2):276-294. ISSN: 0006-8950, doi: 10.1093/brain/awy330. **I.F. 11.814, CIT. 0** *Co-first authors.
8. Monzio Compagnoni G, Kleiner G, Samarani M, Aureli M, Faustini G, Bellucci A, Ronchi D, Bordoni A, Garbellini M, Salani S, Fortunato F, Frattini E, Abati E, Bergamini C, Fato

- R, Tabano S, Miozzo M, Serratto G, Passafaro M, Deleidi M, Silipigni R, **Nizzardo M**, Bresolin N, Comi GP, Corti S, Quinzii CM, Di Fonzo A. Mitochondrial Dysregulation and Impaired Autophagy in iPSC-Derived Dopaminergic Neurons of Multiple System Atrophy. *Stem Cell Reports*. 2018; 11(5):1185-1198. ISSN: 2213-6711, doi: 10.1016/j.stemcr.2018.09.007. **I.F. 5.499, CIT. 10.**
9. Rizzuti M, Filosa G, Melzi V, Calandriello L, Dioni L, Bollati V, Bresolin N, Comi GP, Barabino S, **Nizzardo M**, Corti S. MicroRNA expression analysis identifies a subset of downregulated miRNAs in ALS motor neuron progenitors. *Sci Rep*. 2018; 8(1):10105. ISSN: 2045-2322, doi: 10.1038/s41598-018-28366-1. **I.F. 4.122, CIT. 6.**
 10. Romano G, Holodkov N, Klima R, Grilli F, Guarnaccia C, **Nizzardo M**, Rizzo F, Garcia R, Feiguin F. Downregulation of glutamic acid decarboxylase in Drosophila TDP-43-null brains provokes paralysis by affecting the organization of the neuromuscular synapses. *Sci Rep*. 2018; 8(1):1809. ISSN: 2045-2322, doi: 10.1038/s41598-018-19802-3. **I.F. 4.122, CIT. 3.**
 11. Ramirez A, Crisafulli SG, Rizzuti M, Bresolin N, Comi GP, Corti S, **Nizzardo M**. Investigation of New Morpholino Oligomers to Increase Survival Motor Neuron Protein Levels in Spinal Muscular Atrophy. *Int J Mol Sci*. 2018; 19(1). pii: E167. ISSN: 1661-6596, doi: 10.3390/ijms19010167. **I.F. 4.183, CIT. 3.**
 12. Rizzo F, Ramirez A, Compagnucci C, Salani S, Melzi V, Bordoni A, Fortunato F, Niceforo A, Bresolin N, Comi GP, Bertini E, **Nizzardo M**, Corti S. Genome-wide RNA-seq of iPSC-derived motor neurons indicates selective cytoskeletal perturbation in Brown-Vialetto disease that is partially rescued by riboflavin. *Sci Rep*. 2017; 7:46271. ISSN: 2045-2322, doi: 10.1038/srep46271. **I.F. 4.122, CIT. 5.**
 13. **Nizzardo M**, Rizzuti M. Intracerebroventricular Delivery in Mice for Motor Neuron Diseases. *Methods Mol Biol*. 2017; 1565:229-239. ISSN: 1064-3745 (print), 1940-6029 (web), doi: 10.1007/978-1-4939-6817-6_19. **I.F. 10.71 (fonte CiteScore by Scopus), CIT. 0.**
 14. Rizzo F, Ronchi D, Salani S, **Nizzardo M**, Fortunato F, Bordoni A, Stuppia G, Del Bo R, Piga D, Fato R, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Selective mitochondrial depletion, apoptosis resistance, and increased mitophagy in human Charcot-Marie-Tooth 2A motor neurons. *Hum Mol Genet*. 2016;25(19):4266-4281. ISSN: 0964-6906, doi: 10.1093/hmg/ddw258. **I.F. 4.544, CIT. 17.**
 15. **Nizzardo M**, Bucchia M, Ramirez A, Trombetta E, Bresolin N, Comi GP, Corti S. iPSC-derived LewisX⁺CXCR4⁺β1-integrin⁺ neural stem cells improve the amyotrophic lateral sclerosis phenotype by preserving motor neurons and muscle innervation in human and rodent models. *Hum Mol Genet*. 2016; 25(15):3152-3163. ISSN: 0964-6906, doi: 10.1093/hmg/ddw163. **I.F. 4.544, CIT. 14.**
 16. Allodi I, Comley L, Nichterwitz S, **Nizzardo M**, Simone C, Benitez JA, Cao M, Corti S, Hedlund E. Differential neuronal vulnerability identifies IGF-2 as a protective factor in ALS. *Sci Rep*. 2016; 6:25960. ISSN: 2045-2322, doi: 10.1038/srep25960. **I.F. 4.122, CIT. 26.**
 17. **Nizzardo M**, Simone C, Rizzo F, Ulzi G, Ramirez A, Rizzuti M, Bordoni A, Bucchia M, Gatti S, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Morpholino-mediated SOD1 reduction ameliorates an amyotrophic lateral sclerosis disease phenotype. *Sci Rep*. 2016; 6:21301. ISSN: 2045-2322, doi: 10.1038/srep21301. **I.F. 4.122, CIT. 14.**
 18. Dametti S, Faravelli I, Ruggieri M, Ramirez A, **Nizzardo M**, Corti S. Experimental Advances Towards Neural Regeneration from Induced Stem Cells to Direct *In vivo* Reprogramming. *Mol Neurobiol*. 2016; 53(4):2124-31. ISSN: 0893-7648, doi: 10.1007/s12035-015-9181-7. **I.F. 4.586, CIT. 10.**
 19. **Nizzardo M**, Simone C, Dametti S, Salani S, Ulzi G, Pagliarani S, Rizzo F, Frattini E, Pagani F, Bresolin N, Comi G, Corti S. Spinal muscular atrophy phenotype is ameliorated

- in human motor neurons by SMN increase via different novel RNA therapeutic approaches. *Sci Rep.* **2015**; 5:11746. ISSN: 2045-2322, doi: 10.1038/srep11746. *I.F.* **4.122**, *CIT.* **21**.
20. Stuppia G, Rizzo F, Riboldi G, Del Bo R, **Nizzardo M**, Simone C, Comi GP, Bresolin N, Corti S. MFN2-related neuropathies: Clinical features, molecular pathogenesis and therapeutic perspectives. *J Neurol Sci.* **2015**. pii: S0022-510X(15)00328-7. ISSN: 0022-510X, doi: 10.1016/j.jns.2015.05.033. *I.F.* **2.651**, *CIT.* **44**.
 21. Faravelli I, **Nizzardo M**, Comi GP, Corti S. Spinal muscular atrophy- recent therapeutic advances for an old challenge. *Nat Rev Neurol.* **2015**; 11(6):351-9. ISSN: 1759-4758, doi: 10.1038/nrneurol.2015.77. *I.F.* **21.155**, *CIT.* **73**.
 22. **Nizzardo M**, Simone C, Rizzo F, Salani S, Dametti S, Rinchetti P, Del Bo R, Foust K, Kaspar B., Bresolin N, Comi GP, Corti S. Gene therapy rescues disease phenotype in a spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1 (SMARD1) mouse model. *Sci Adv.* **2015**; 1(2):e1500078. ISSN: 2375-2548, doi: 10.1126/sciadv.1500078. *I.F.* **12.804**, *CIT.* **17**.
 23. Comley L, Allodi I, Nichterwitz S, **Nizzardo M**, Simone C, Corti S, Hedlund E. Motor neurons with differential vulnerability to degeneration show distinct protein signatures in health and ALS. *Neuroscience.* **2015**; 291C:216-229. ISSN: 0306-4522, doi: 10.1016/j.neuroscience. *I.F.* **3.244**, *CIT.* **25**.
 24. Buccia M, Ramirez A, Parente V, Simone C, **Nizzardo M**, Magri F, Dametti S, Corti S. Therapeutic Development in Amyotrophic Lateral Sclerosis. *Clin Ther.* **2015**. pii: S0149-2918(15)00010-7. ISSN: 0149-2918, doi: 10.1016/j.clinthera.2014.12.020. *I.F.* **2.935**, *CIT.* **37**.
 25. Frattini E, Ruggieri M, Salani S, Faravelli I, Zanetta C, **Nizzardo M**, Simone C, Magri F, Corti S. Pluripotent stem cell-based models of spinal muscular atrophy. *Mol Cell Neurosci.* **2015**; 64C:44-50. ISSN: 1044-7431, doi: 10.1016/j.mcn.2014.12.005. *I.F.* **2.855**, *CIT.* **19**.
 26. Rizzuti M, **Nizzardo M**, Zanetta C, Ramirez A, Corti S. Therapeutic applications of the cell-penetrating HIV-1 Tat peptide. *Drug Discov Today.* **2015**; 20(1):76-85. ISSN: 1359-6446, doi: 10.1016/j.drudis.2014.09.017. *I.F.* **6.880**, *CIT.* **94**.
 27. Faravelli I, Frattini E, Ramirez A, Stuppia G, **Nizzardo M**, Corti S. iPSC-Based Models to Unravel Key Pathogenetic Processes Underlying Motor Neuron Disease Development. *J Clin Med.* **2014**; 3(4):1124-45. ISSN: 2077-0383, doi: 10.3390/jcm3041124. *I.F.* **5.680**, *CIT.* **7 (fonte: Google Scholar)**.
 28. Simone C*, **Nizzardo M***, Rizzo F, Ruggieri M, Riboldi G, Salani S, Buccia M, Bresolin N, Comi GP, Corti S. iPSC-derived neural stem cells act via kinase inhibition to exert neuroprotective effects in Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress Type 1. *Stem Cell Reports.* **2014**; 3(2):297-311. ISSN: 2213-6711, doi: 10.1016/j.stemcr.2014.06.004. *I.F.* **5.499**, *CIT.* **25**, *Co-first authors.
 29. Porro F, Rinchetti P, Magri F, Riboldi G, **Nizzardo M**, Simone C, Zanetta C, Faravelli I, Corti S. The wide spectrum of clinical phenotypes of spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1: A systematic review. *J Neurol Sci.* **2014**; 346(1-2):35-42. ISSN: 0022-510X, doi: 10.1016/j.jns.2014.09.010. *I.F.* **2.651**, *CIT.* **21**.
 30. Faravelli I, Buccia M, Rinchetti P, **Nizzardo M**, Simone C, Frattini E, Corti S. Motor neuron derivation from human embryonic and induced pluripotent stem cells: experimental approaches and clinical perspectives. *Stem Cell Res Ther.* **2014**; 5(4):87. ISSN: 1757-6512, doi: 10.1186/scrt476. Review. *I.F.* **4.627**, *CIT.* **25**.
 31. Pagliarani S, Lucchiari S, Ulzi G, Violano R, Ripolone M, Bordoni A, **Nizzardo M**, Gatti S, Corti S, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. Glycogen storage disease type III: A novel Agl knockout mouse model. *Biochim Biophys Acta.* **2014**; 1842(11):2318-28. ISSN: 0925-4439, doi: 10.1016/j.bbadis.2014.07.029. *I.F.* **3.681**, *CIT.* **18**.
 32. Riboldi G, Zanetta C, Ranieri M, **Nizzardo M**, Simone C, Magri F, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Antisense Oligonucleotide Therapy for the Treatment of C9ORF72 ALS/FTD

- Diseases. *Mol Neurobiol.* **2014**; 50(3):721-32. ISSN: 0893-7648, doi: 10.1007/s12035-014-8724-7. *I.F. 4.586, CIT. 33.*
33. Faravelli I, Riboldi G, **Nizzardo M**, Simone C, Zanetta C, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Stem cell transplantation for amyotrophic lateral sclerosis: therapeutic potential and perspectives on clinical translation. *Cell Mol Life Sci.* **2014**; 71(17):3257-68. ISSN: 1420-682X, doi: 10.1007/s00018-014-1613-4. *I.F. 7.014, CIT. 22.*
 34. **Nizzardo M**, Simone C, Salani S, Ruepp MD, Rizzo F, Ruggieri M, Brajkovic S, Moulton HM Muehlemann O, Bresolin N, Comi GP and Corti S. Effect of combined systemic and local morpholino treatment on the SMA $\Delta 7$ mouse model phenotype. *Clin Ther.* **2014**; 36(3):340-356.e5. ISSN: 0149-2918, doi: 10.1016/j.clinthera.2014.02.004. *I.F. 2.935, CIT. 34.*
 35. Zanetta C, Riboldi G, **Nizzardo M**, Simone C, Faravelli I, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Molecular, genetic and stem cell-mediated therapeutic strategies for spinal muscular atrophy (SMA). *J Cell Mol Med.* **2014**; 18(2):187-96. ISSN: 1582-4934, doi: 10.1111/jcmm.12224. *I.F. 4.658, CIT. 16.*
 36. Zanetta C, **Nizzardo M**, Simone C, Monguzzi E, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Molecular therapeutic strategies for spinal muscular atrophies: current and future clinical trials. *Clin Ther.* **2014**; 36(1):128-40. ISSN: 0149-2918, doi: 10.1016/j.clinthera.2013.11.006. *I.F. 2.935, CIT. 54.*
 37. Compagnucci C, **Nizzardo M**, Corti S, Zanni G, Bertini E. *In vitro* neurogenesis: development and functional implications of iPSC technology. *Cell Mol Life Sci.* **2014**; 71(9):1623-39. ISSN: 1420-682X, doi: 10.1007/s00018-013-1511-1. *I.F. 7.014, CIT. 27.*
 38. Rizzo F, Riboldi G, Salani S, **Nizzardo M**, Simone C, Corti S, Hedlund E. Cellular therapy to target neuroinflammation in amyotrophic lateral sclerosis. *Cell Mol Life Sci.* **2014**; 71(6):999-1015. ISSN: 1420-682X, doi: 10.1007/s00018-013-1480-4. *I.F. 7.014, CIT. 60.*
 39. **Nizzardo M**, Simone C, Rizzo F, Ruggieri M, Salani S, Riboldi G, Faravelli I, Zanetta C, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Minimally invasive transplantation of iPSC-derived ALDHhiSSCloVLA4⁺ neural stem cells effectively improves the phenotype of an amyotrophic lateral sclerosis model. *Hum Mol Genet.* **2014**; 23(2):342-54. ISSN: 0964-6906, doi: 10.1093/hmg/ddt425. *I.F. 4.544, CIT. 60.*
 40. Ciccolella M, Corti S, Catteruccia M, Petrini S, Tozzi G, Rizza T, Carrozzo R, **Nizzardo M**, Bordoni A, Ronchi D, D'Amico A, Rizzo C, Comi GP, Bertini E. Riboflavin transporter 3 involvement in infantile Brown-Vialetto-Van Laere disease: two novel mutations. *J Med Genet.* **2013**; 50(2):104-7. ISSN: 0022-2593, doi: 10.1136/jmedgenet-2012-101204. *I.F. 5.899, CIT. 21.*
 41. **Nizzardo M**, Simone C, Falcone M, Riboldi G, Comi GP, Bresolin N, Corti S. Direct reprogramming of adult somatic cells into other lineages: past evidence and future perspectives. *Cell Transplant.* **2013**; 22(6):921-44. ISSN: 0963-6897, doi: 10.3727/096368912X657477. *I.F. 3.477, CIT. 16.*
 42. Corti S, **Nizzardo M**, Simone C, Falcone M, Nardini M, Ronchi D, Donadoni C, Salani S, Riboldi G, Magri F, Menozzi G, Bonaglia C, Rizzo F, Bresolin N, Comi GP. Genetic correction of human induced pluripotent stem cells from patients with spinal muscular atrophy. *Sci Transl Med.* **2012**; 4(165):165ra162. ISSN: 1946-6234, doi: 10.1126/scitranslmed.3004108. *I.F. 17.161, CIT. 133.*
 43. Corti S, **Nizzardo M**, Simone C, Falcone M, Donadoni C, Salani S, Rizzo F, Nardini M, Riboldi G, Magri F, Zanetta C, Faravelli I, Bresolin N, Comi GP. Direct reprogramming of human astrocytes into neural stem cells and neurons. *Exp Cell Res.* **2012**; 318(13):1528-41. ISSN: 0014-4827, doi: 10.1016/j.yexcr.2012.02.040. *I.F. 3.329, CIT. 95.*
 44. **Nizzardo M**, Simone C, Falcone M, Riboldi G, Rizzo F, Magri F, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Research advances in gene therapy approaches for the treatment of amyotrophic

- lateral sclerosis. *Cell Mol Life Sci.* **2012**; 69(10):1641-50. ISSN: 1420-682X, doi: 10.1007/s00018-011-0881-5. *I.F. 6.341, CIT. 15.*
45. Riboldi G, **Nizzardo M**, Simone C, Falcone M, Bresolin N, Comi GP, Corti S. ALS genetic modifiers that increase survival of SOD1 mice and are suitable for therapeutic development. *Prog Neurobiol.* **2011**; 95(2):133-48. ISSN: 0301-0082, doi: 10.1016/j.pneurobio.2011.07.009. *I.F. 10.658, CIT. 16.*
 46. **Nizzardo M**, Nardini M, Ronchi D, Salani S, Donadoni C, Fortunato F, Colciago G, Falcone M, Simone C, Riboldi G, Govoni A, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Beta-lactam antibiotic offers neuroprotection in a spinal muscular atrophy model by multiple mechanisms. *Exp Neurol.* **2011**; 229(2):214-25. ISSN: 0014-4886, doi: 10.1016/j.expneurol.2011.01.017. *I.F. 4.562, CIT. 42.*
 47. **Nizzardo M**, Simone C, Falcone M, Locatelli F, Riboldi G, Comi GP, Corti S. Human motor neuron generation from embryonic stem cells and induced pluripotent stem cells. *Cell Mol Life Sci.* **2010**; 67(22):3837-47. ISSN: 1420-682X, doi: 10.1007/s00018-010-0463-y. *I.F. 7.014, CIT. 56.*
 48. Corti S, **Nizzardo M**, Nardini M, Donadoni C, Salani S, Simone C, Falcone M, Riboldi G, Govoni A, Bresolin N, Comi GP. Systemic transplantation of c-kit⁺ cells exerts a therapeutic effect in a model of amyotrophic lateral sclerosis. *Hum Mol Genet.* **2010**; 19(19):3782-96. ISSN: 3782-3796, doi: 10.1093/hmg/ddq293. *I.F. 4.544, CIT. 45.*
 49. Corti S, **Nizzardo M**, Nardini M, Donadoni C, Salani S, Ronchi D, Simone C, Falcone M, Papadimitriou D, Locatelli F, Mezzina N, Gianni F, Bresolin N, Comi GP. Embryonic stem cell-derived neural stem cells improve spinal muscular atrophy phenotype in mice. *Brain.* **2010**; 133(Pt 2):465-81. ISSN: 0006-8950, doi: 10.1093/brain/awp318. *I.F. 11.814, CIT. 84.*
 50. Corti S, **Nizzardo M**, Nardini M, Donadoni C, Salani S, Del Bo R, Papadimitriou D, Locatelli F, Mezzina N, Gianni F, Bresolin N, Comi GP. Motoneuron transplantation rescues the phenotype of SMARD1 (spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1). *J Neurosci.* **2009**; 29(38):11761-71. ISSN: 0270-6474, doi: 10.1523/JNEUROSCI.2734-09.2009. *I.F. 6.074, CIT. 30.*
 51. Di Fonzo A, Ronchi D, Lodi T, Fassone E, Tigano M, Lamperti C, Corti S, Bordoni A, Fortunato F, **Nizzardo M**, Napoli L, Donadoni C, Salani S, Saladino F, Moggio M, Bresolin N, Ferrero I, Comi GP. The mitochondrial disulfide relay system protein GFER is mutated in autosomal-recessive myopathy with cataract and combined respiratory-chain deficiency. *Am J Hum Genet.* **2009**; 84(5):594-604. ISSN: 0002-9297, doi: 10.1016/j.ajhg.2009.04.004. *I.F. 9.924, CIT. 93.*
 52. Corti S, **Nizzardo M**, Nardini M, Donadoni C, Salani S, Ronchi D, Saladino F, Bordoni A, Fortunato F, Del Bo R, Papadimitriou D, Locatelli F, Menozzi G, Strazzer S, Bresolin N, Comi GP. Neural stem cell transplantation can ameliorate the phenotype of a mouse model of spinal muscular atrophy. *J Clin Invest.* **2008**; 118(10):3316-30. ISSN: 0021-9738, doi: 10.1172/JCI35432. *I.F. 12.282, CIT. 100.*
 53. Locatelli F, Corti S, Papadimitriou D, Fortunato F, Del Bo R, Donadoni C, **Nizzardo M**, Nardini M, Salani S, Ghezzi S, Strazzer S, Bresolin N, Comi GP. Fas small interfering RNA reduces motoneuron death in amyotrophic lateral sclerosis mice. *Ann Neurol.* **2007**; 62(1):81-92. ISSN: 0364-5134 (print), ISSN: 1531-8249 (web), doi: 10.1002/ana.21152. *I.F. 9.496, CIT. 41.*
 54. Corti S, **Nizzardo M**, Nardini M, Donadoni C, Locatelli F, Papadimitriou D, Salani S, Del Bo R, Ghezzi S, Strazzer S, Bresolin N, Comi GP. Isolation and characterization of murine neural stem/progenitor cells based on Prominin-1 expression. *Exp Neurol.* **2007**; 205(2):547-62. ISSN: 0014-4886, doi: 10.1016/j.expneurol.2007.03.021. *I.F. 4.562, CIT. 92.*

55. Corti S, Locatelli F, Papadimitriou D, Del Bo R, **Nizzardo M**, Nardini M, Donadoni C, Salani S, Fortunato F, Strazzer S, Bresolin N, Comi GP. Neural stem cells LewisX+ CXCR4+ modify disease progression in an amyotrophic lateral sclerosis model. *Brain*. **2007**; 130(Pt 5):1289-305. ISSN: 0006-8950, doi: 10.1093/brain/awm043. *I.F. 11.814, CIT. 107*.
56. Cecchinato V, Chiaramonte R, **Nizzardo M**, Cristofaro B, Basile A, Sherbet GV, Comi P. Resveratrol-induced apoptosis in human T-cell acute lymphoblastic leukaemia MOLT-4 cells. *Biochem Pharmacol*. **2007**; 74(11):1568-74. ISSN: 0006-2952, doi: 10.1016/j.bcp.2007.08.001. *I.F. 4.825, CIT. 95*.

D) ATTIVITÀ IN CAMPO CLINICO

- La Dott.ssa Nizzardo collabora dal **2005** all'attività di **biobancaggio di colture cellulari e campioni biologici di pazienti affetti da malattie neurologiche (neurodegenerative e neuromuscolari)**, la cui disponibilità all'interno della **Banca Eurobiobank Telethon** dell'Istituto di Clinica Neurologica IRCCS Fondazione Ca' Granda rappresenta una risorsa per nuovi studi in ambito neurologico tra cui lo studio dei meccanismi patogenetici e l'identificazione di biomarcatori (<http://www.centrodinoferrari.com/laboratori/u-o-d-diagnostica-malattie-neuromuscolari-e-rare/biobanca/>).

- La Dott.ssa Nizzardo collabora dal **2005** alla ricerca e all'attività di diagnostica del **Laboratorio di Biochimica e Genetica**, UNIMI, responsabile Prof. Giacomo P. Comi, dedicato sia alla diagnostica molecolare delle malattie neurologiche (approccio single gene ->100 geni di malattie neurologiche e Next Generation Sequencing- NGS) (<http://www.centrodinoferrari.com/laboratori/laboratorio-di-biochimica-e-genetica/>) che alla comprensione dei meccanismi molecolari e cellulari delle malattie neuromuscolari e neurodegenerative.

- La Dott.ssa Nizzardo collabora allo sviluppo di un trial clinico di terapia genica per la SMARD1 che inizierà a fine 2020 come collaborazione tra IRCCS Fondazione Ca'Granda-Ospedale Maggiore Policlinico, UNIMI e il Nationwide Children's Hospital della Ohio State University.

E) REALIZZAZIONE DI ATTIVITÀ PROGETTUALE

Progetti scientifici di ricerca eseguiti come responsabile di progetto (PI)

1. **SMA Europe** 2020-2021 (24 mesi) "Unravelling the role of Stathmin-2 in SMA as a key cause of MN vulnerability and as therapeutic target", Principal Investigator, 150.000 Euro. **Finanziamento Europeo**.
2. **Ministry of Health** 2018-2021 (36 mesi) "Unravelling therapeutic window and central nervous system delivery of AAV9-IGHMBP2 gene therapy for SMARD1" (GR-2016-02362377), Principal Investigator, 411.750 Euro. **Finanziamento Nazionale**.
3. **Fondazione Cariplo** 2016-2018 (36 mesi) "Assessing the pathogenetic role of p53 activation and tRNA dysregulation to understand the pathogenesis and identify molecular therapeutics targets for Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress type 1 (SMARD1)." (2015-0776), Principal Investigator, 250.000 Euro. **Finanziamento Nazionale**.
4. **Telethon** 2014-2018 (48 mesi) "Peptide-conjugated Morpholino for treatment of Spinal Muscular Atrophy" (GGP14025), Principal Investigator, 291.500 Euro. **Finanziamento Nazionale**.

5. **AriSLA 2013** (12 mesi) “**ALSSiMO** – Morpholino antisense oligomer against SOD1 for the development of ALS therapy”, Principal Investigator, 59.850 Euro. **Finanziamento Nazionale.**
6. **Ministry of Health 2013-2016** (36 mesi) “Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress type 1 (SMARD1): gene therapy as novel therapeutic approach” (GR-2010-2309229), Principal Investigator, 269.900 Euro. **Finanziamento Nazionale.**

Progetti scientifici di ricerca eseguiti come collaboratore nel progetto

1. **European Union Erare grant 2019-2021** (36 mesi) “INTEGRative multi-OMICs approaches on iPSC-derived 2D and 3D models to elucidate the role of immune and energy metabolism-related genes/pathways in Amyotrophic Lateral Sclerosis”. **Finanziamento Unione Europea.**
2. **European Union H2020-MSCA-RISE 2017 2014-2022** (48 mesi) “Transferring autonomous and non autonomous cell degeneration 3D models between EU and USA for development of effective therapies for neurodegenerative diseases (ND) CROSS-NEUROD”. **HORIZON-PEOPLE-2017-RISE. Finanziamento Unione Europea.**
3. **Fondation Thierry Latran (TLF) 2017-2019** “Modulating motor neuron vulnerability using the oculomotor restricted genes IGF-2 and SYT13 for ALS therapy”. **Finanziamento Internazionale.**
4. **European Union JPND grant 2015-2018** “Elucidation of common transcriptional targets in vulnerable Dopamine, Motor Neuron and frontotemporal Dementia disease PATHwayS”. **Finanziamento Unione Europea.**
5. **AriSLA 2015-2018** “ALS molecular therapy exploiting integrated small RNAs and proteomic analysis of patient-derived induced pluripotent stem cells Project Acronym: smallRNALS”. **Finanziamento Nazionale.**
6. **AFM, 2015-2017** “Development of therapy for SMARD1 based on minimally invasive transplantation of iPSC-derived LeX+CXCR4+VLA4+ neural stem cell”. **Finanziamento Internazionale.**
7. **European Union 7PQ 2014-2018** “NO-MND— Transferring NO on autonomous cell degeneration models between EU and USA for development of effective therapies for Motor Neuron Diseases (MND)” FP7-PEOPLE-2013-IRSES. **Finanziamento Unione Europea.**
8. **ALS Association Grant (USA) 2013-2014** “Amyotrophic lateral sclerosis (ALS) therapy via minimally invasive transplantation of a LeX+CXCR4+VLA4+ neural stem cell subpopulation derived from induced pluripotent stem cells”. **Finanziamento Internazionale.**
9. **Fondazione Cariplo 2013-2016** “Pathogenetic role of differentially expressed/spliced genes in Spinal Muscular Atrophy”. **Finanziamento Nazionale.**
10. **Ministry of Health Grant, 2013-2015** “ROLE OF RIBOFLAVIN TRANSPORTERS IN MOTOR NEURON DISEASES: Genetic analysis of the Brown Vialetto Van Laere and Fazio Londe syndromes and development of potential treatment strategies for motor neuron diseases”. **Finanziamento Nazionale.**
11. **AFM, 2013-2015** “SMN splicing correction mediated by Exon Specific U1 snRNA as therapy for spinal muscular atrophy”. **Finanziamento Internazionale.**
12. **Fondation Thierry Latran (TLF) 2013-2016** “Identification of oculomotor-restricted genes with motor neuron protective properties for the development of ALS therapeutics”. **Finanziamento Internazionale.**
13. **Ministero della Salute, Ricerca Finalizzata, Progetti di Ricerca Giovani Ricercatori 2012-2014** “iPS derived neural stem cells for Spinal Muscular Atrophy Therapy (SMAThera)”. **Finanziamento Nazionale.**

14. **MIUR, FIRB Futuro in Ricerca 2010-2016** “Development of a stem cell approach for motor neuron diseases”. **Finanziamento Nazionale.**
15. **Telethon GGP09107 2010-2012** “Neuroprotection in Spinal Muscular Atrophy (SMA) using neural stem cells as a therapeutic approach”. **Finanziamento Nazionale.**
16. **SMA Europe/FSMA grant, 2008-2010,** “Development of a stem cell approach for treating Spinal Muscular Atrophy”. **Finanziamento Internazionale.**
17. **Telethon GGP06043, 2006-2009,** “Development of cellular and molecular therapeutic approaches for Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress (SMARD1)”. **Finanziamento Nazionale.**

F) ORGANIZZAZIONE, DIREZIONE E COORDINAMENTO DI GRUPPI DI RICERCA NAZIONALI E INTERNAZIONALI, E PARTECIPAZIONE AGLI STESSI.

La Dott.ssa Nizzardo è investigatore principale (PI) indipendente dal 2012. In questi anni ha sempre coordinato un gruppo di ricerca indipendente composto da studenti e post-doc. Attualmente dirige un gruppo di ricercatori costituito da 1 studente del corso di laurea in Biotecnologie, 3 studenti di dottorato e 2 borsisti post-dottorato.

Dal periodo post-laurea ha partecipato attivamente in due gruppi di ricerca:

2005 - oggi Laboratorio Cellule Staminali neurali, diretto dalla Prof.ssa Corti, Dipartimento di Fisiopatologia Medico Chirurgica e dei Trapianti, Università degli Studi di Milano.
<http://www.centrodinoferrari.com/laboratori/laboratorio-di-cellule-staminali-neurali/>

2005 - oggi Laboratorio di Biochimica e Genetica, UNIMI, responsabile Prof. Giacomo P. Comi, dedicato sia alla diagnostica molecolare delle malattie neurologiche

Inoltre

2014 - oggi Partecipazione a Gruppo di Ricerca Internazionale (Italia-Grecia-Stati Uniti): “Transferring Non autonomous cell degeneration models between EU and USA for development of effective therapies for Motor Neuron Diseases (MND) (NO-MND)”. Il progetto è supportato dal programma internazionale di scambio di ricercatori Marie Curie con lo scopo di sviluppare efficaci terapie per patologie del motoneurone con scambio di modelli di studio tra Europa e Stati Uniti.

Altre principali istituzioni coinvolte in collaborazioni scientifiche:

- Motor Neuron Center, Columbia University New York USA, Prof. S. Przedborski, Prof. D. Re, Prof. Francesco Lotti (dal 2014).
- The Research Institute at Nationwide Children’s Hospital/The Ohio State University, Center for Gene Therapy, Columbus, Ohio, USA, Prof. Kathrin Meyer, Prof. Brian K Kaspar (dal 2010).
- College of Veterinary Medicine, Oregon State University, Oregon USA, Prof. Hong Moulton (dal 2013).
- Department of Neuroscience, Karolinska Institutet, Svezia, Prof.ssa Eva Hedlund (dal 2010).
- International Center for Genetic Engineering and Biotechnology (ICGEB), Trieste, Dr. Fabian Feiguin (dal 2017).
- University of Bern Prof. Oliver Mühlemann (dal 2010).
- Neurological Institute of McGill University, Montreal, Canada, Prof. Stefano Stifani (dal 2018).
- University Medical Center Utrecht, Utrecht University, Olanda Prof. Jeroen Pasterkamp (dal 2018).
- Deutsches Zentrum für Neurodegenerative Erkrankungen (DZNE), Germania Prof. Michela Deleidi (dal 2018).

- Department of Neurology Universitair Ziekenhuis Leuven, Belgio, Prof. Philip Van Damme (dal 2018).
- Dipartimento di Biotecnologie Mediche Traslazionali, Università degli Studi di Milano, Prof. Diego Fornasari (dal 2014).
- Dipartimento di Scienze Cliniche e di Comunità, Università degli Studi di Milano, Prof. Valentina Bollati (dal 2016).
- Dipartimento di Biotecnologie e Bioscienze, Università degli Studi di Milano-Bicocca, Prof. Silvia Barabino (dal 2015).
- IRCCS E. Medea, Bosisio Parini, Lecco, Dr. Uberto Pozzoli (dal 2012).
- Fondazione IRCCS Istituto Neurologico 'Carlo Besta', Milano, Stefania Marcuzzo (dal 2016).
- IRCCS Istituto Neurologico 'C. Mondino', Pavia, Prof. Cristina Cereda (dal 2017).
- IRCCS Auxologico, Università degli Studi di Milano, Prof. Vincenzo Silani e Prof. Antonia Ratti (dal 2015).
- Humanitas Research Center, Milano, Dr. Simona Lodato (dal 2018).
- Dipartimento di Neuroscienze, IRCCS Ospedale Bambino Gesù, Roma, Dr. Enrico Bertini (dal 2013).
- Institute of Bioscience and BioResources, IBBR, CNR, Napoli, Dr. Elia di Schiavi (dal 2018).

G) TITOLARITA' DI BREVETTI

Titolarità di Brevetto Internazionale: “Inhibitor of miR-A and uses thereof” (n°102019000004571). Brevetto congiunto UNIMI/UNIMB/IRCCS Foundation Ca' Granda già approvato dalle Istituzioni, procedura di deposito in corso. “Antisense composition and method for treating motor neuron diseases”: Il brevetto prevede la sintesi di nuovi oligonucleotidi contro specifici miRNA che potranno rappresentare nuove molecole farmacologiche per lo sviluppo di strategie terapeutiche per le malattie neurologiche.

Titolarità di Brevetto Internazionale: “AAV Gene Therapy for Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress Type I (SMARD1) and Charcot-Marie-Tooth Disease 2S (CMT2S) caused by mutations in the IGHMBP2 Gene”. Brevetto congiunto UNIMI/IRCCS Foundation Ca' Granda e Research Institute at Nationwide Children's Hospital in fase di approvazione negli Stati Uniti. Il brevetto prevede la sintesi di nuovi costrutti virali che possano veicolare geni corretti per patologie genetiche quali SMARD1 e CMT2S.

H) Partecipazione in qualità di relatore a congressi e convegni scientifici nazionali e internazionali

Comunicazioni orali a congressi scientifici nazionali

1. “Patogenesi molecolare e prospettive terapeutiche per la SMARD1”, *1° Convegno Nazionale SMARD1*, Sant'Agata Militello, **2019**.
2. “Axonal and synaptic genes with altered expression/splicing in human Spinal Muscular Atrophy motor neurons: molecular and therapeutic implications”, *XVII Congresso Nazionale SINS*, Ischia, **2017**.
3. “Cellule staminali”, *Congresso: “SLA/FTD: Basi patogenetiche di rilevanza clinica”*. Istituto Auxologico Italiano, Milano, **2015**.
4. “Morpholino treatment rescues the spinal muscular atrophy (SMA) phenotype”, *INGM – POLICLINICO 2nd Research Day*, Milano, **2014**.
5. “Gene therapy in animal models of motor neuron diseases”, *Young Researchers Seminar, IRCCS Maggiore Policlinico*, Milano, **2013**.

6. "Induced pluripotent stem cells: an *in vitro* model and an experimental therapeutic approach *in vivo* for motor neuron diseases", *INGM – POLICLINICO 1st Research Day*, Milano, **2013**.
7. "Molecular and Cellular therapeutic approach for SMA", *1° Convegno "SMA, comunicazione, conoscenza e avanzamenti terapeutici"*, Imperia, **2012**.
8. "Trapianto di cellule staminali derivate da staminali embrionali (ES) come possibile strategia terapeutica per l'Atrofia Muscolare Spinale", *VIII Congresso Nazionale Associazione Italiana di Miologia (AIM)*, Pisa, **2008**.
9. "Cellule staminali neuronali derivate da staminali embrionali murine migliorano il fenotipo di un modello murino di Atrofia Spinale Muscolare (SMA)", *2° Congresso di Biotecnologia – Sezione Piemonte*, Torino, **2008**.

Comunicazioni orali a congressi scientifici internazionali

1. "Cell Penetrating Peptide-conjugated Morpholino: treatment for SMA symptomatic cases", *2nd International Scientific & Clinical Congress on Spinal Muscular Atrophy*, Evry, Francia, **2020**.
2. "Spinal Muscular Atrophy (SMA) and control central nervous system 3D models", *CROSS NEUROD Mid-term meeting*, Milano, **2019**.
3. "Cell Penetrating Peptide-conjugated Morpholino: an improved and promising treatment for SMA symptomatic cases", *Annual Cure-SMA Conference*, Anaheim, USA, **2019**.
4. "MicroRNAs analysis of patient-derived iPSCs and MNs as molecular therapy for ALS". *ENCALS Meeting*, Ljubljana, Slovenia, **2017**.
5. "Molecular and gene therapy for motor neuron disorders", *NO-MND Day*, Atene, Grecia, **2016**.
6. "Gene therapy rescues disease phenotype in a spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1 (SMARD1) mouse model", *NO-MND Day*, Milano, **2015**.
7. "Gene therapy rescues disease phenotype in a spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1 (SMARD1) mouse model", *Neuroscience, Nanosymposium*, Chicago, USA, **2015**.
8. "Morpholino antisense oligomer against SOD1 for the development of ALS therapy", *5th Annual AriSLA Conference*, Milano, **2014**.

Seminari e Conferenze ad invito presso Università, Istituzioni

1. "Molecular and gene therapy for motor neuron disorders", Istituto di Neuroscienze del CNR, Dipartimento BIOMETRA, Milano, **2016**.
2. "Induced pluripotent stem cells for ALS: *in vitro* disease model and source of transplantation", ICGEB International Seminar Program 2017, ICGEB, Trieste, **2017**.

Organizzazione di convegni

23/11/2015 Organizzazione del convegno internazionale NO-MND day, all'interno del progetto finanziato dalla comunità europea "Transferring Non autonomous cell degeneration models between EU and USA for development of effective therapies for Motor Neurons Diseases (MND), FP7-MC-IRSES", Milano.

14/10/2019 Organizzazione del convegno internazionale *CROSS NEUROD Mid-term meeting*, all'interno del progetto finanziato dalla comunità europea "Transferring autonomous and non autonomous cell degeneration 3D models between EU and USA for development of effective therapies for neurodegenerative diseases (ND) H2020-MSCA-RISE 2017", Milano.

09/02/2019 Organizzazione del *1° Convegno Nazionale SMARD1*, Sant'Agata Militello, in collaborazione con l'Associazione "Family's SMARD1 La dolce Federica Onlus".

Presentazioni a congressi e convegni scientifici nazionali (proceeding pubblicati)

Partecipazioni a congressi e convegni scientifici nazionali nell'ambito delle Neuroscienze come relatore/co-autore.

1. 1° Convegno Nazionale SMARD1, Sant'Agata di Militello, **2019**
2. BraYn Conference, Genova, **2018**
3. SIBBM 2017, From Single Cells to 3D-Cell Culture, Milan, **2017**
4. XIX Convegno Telethon, Riva del Garda, **2017**
5. 6th Annual AriSLA Conference, Milano, **2016**
6. INGM – POLICLINICO 3rd Research Day, Milan, **2016**
7. 1° Simposio Nazionale SLA, Napoli, **2015**
8. XVIII Convegno Telethon, Riva del Garda, **2015**
9. I° Convegno “SMA, comunicazione, conoscenza e avanzamenti terapeutici”, Imperia, **2012**
10. XVI Convegno Telethon, Riva del Garda, **2011**
11. IV Meeting on the Molecular Mechanism of Neurodegeneration, Milano, **2009**
12. 5th Molecular Mechanisms in Neurodegeneration, Milano, **2008**
13. 8° Congresso Nazionale della Associazione Italiana di Miologia, Pisa, **2008**
14. 47° Congresso Società Italiana di Cancerologia, Abano Terme, **2005**

Presentazioni a congressi e convegni scientifici internazionali (proceeding pubblicati)

Partecipazioni a congressi e convegni scientifici internazionali nell'ambito delle Neuroscienze come relatore/co-autore.

1. Annual Cure-SMA Conference, Anaheim, USA, **2019**
2. International Scientific Congress on SMA, Kracov, Polonia, **2018**
3. 28th International Symposium on ALS/MND 2017, Boston, USA, **2017**
4. Annual Cure-SMA Conference, Orlando, USA, **2017**
5. ENCALS meeting, Ljubljana, Slovenia, **2017**
6. Annual Cure-SMA Conference, Anaheim, USA, **2016**
7. ENCALS meeting, Milano, **2016**
8. The Society for Neuroscience 2015 Annual Meeting, Chicago, USA, **2015**
9. ENCALS meeting, Dublin, Ireland, **2015**
10. Annual SMA Conference, National Harbor (MD), USA, **2014**
11. ENCALS meeting, Leuven, Belgio, **2014**
12. Annual SMA Conference, Anaheim, USA, **2013**
13. 23rd International Symposium on ALS/MND 2012, Milano, **2012**
14. The Society for Neuroscience 2012 Annual Meeting, New Orleans, USA, **2012**
15. Annual SMA Conference, Minneapolis, USA, **2012**
16. The Society for Neuroscience 2011 Annual Meeting, Washington, USA, **2011**
17. 15th Annual International SMA Research Group Meeting, Orlando, USA, **2011**
18. The Society for Neuroscience 2010 Annual Meeting, San Diego, California, USA, **2010**
19. 14th Annual International SMA Research Group Meeting, Santa Clara, USA, **2010**
20. ISSCR 8th annual meeting, San Francisco, USA, **2010**
21. The Society for Neuroscience 2009 Annual Meeting, Chicago, USA, **2009**
22. ISSCR 7th annual meeting, Barcellona, Spain, **2009**
23. 18th Meeting of the European Neurological Society, Nice, Francia, **2008**
24. The Society for Neuroscience 2007 Annual Meeting in San Diego, USA, **2007**
25. Clinical Workshop: “Towards clinical trial in muscular dystrophy”. EuroStemCell. Bellagio, **2007**

I) PREMI CONSEGUITI PER LA RICERCA e RICONOSCIMENTI

- **2008** World Muscle Society **Award** (co-autore)
- **2011** World Muscle Society **Award** (co-autore)

- **2012** ARISLA Award best presentation (co-autore)
- **2017** Travel Grant SINS

L) ALTRO

Affiliazione a società/accademie scientifiche

Nazionali:

- Dal 2017-ad oggi Membro della Società Italiana di Neuroscienze

Internazionali

- Dal 2007-2015: Membro della Society of Neuroscience (SfN)
- Dal 2009-2010: Membro della International Society of Stem Cell Research (ISSCR)

ATTIVITA' DI VALUTAZIONE NELL' AMBITO DI PROCEDURE DI SELEZIONE COMPETITIVE NAZIONALI ED INTERNAZIONALI

Ha svolto attività di **Referee** per progetti di ricerca internazionali:

- Agence National de la Recherche (ANR) (2017)
- Muscular Dystrophy UK (2020)

REVIEWER DI RIVISTE NAZIONALI/INTERNAZIONALI (PRINCIPALI)

Reviewer per le riviste internazionali:

- Stem Cell Reviews and Reports (dal 2011 ad oggi)
- Experimental and Molecular Medicine (dal 2012 ad oggi)
- Current Pharmaceutical Design (dal 2017 ad oggi)
- Cell Death and Disease (dal 2018 ad oggi)
- Scientific Report (dal 2019 ad oggi)
- Frontiers in Neuroscience (dal 2019 ad oggi)

ATTIVITA' DI DIVULGAZIONE SCIENTIFICA

2014 - oggi collabora all'allestimento e aggiornamento del sito del Centro Dino Ferrari che illustra l'attività di ricerca del Laboratorio (<http://associazionecentrodinoferrari.com/en/>).

09/2017 Collaborazione alla stesura del numero 3, anno IV, della rivista SMAgazine, fondata dall'Associazione "Famiglie SMA".

2017 - oggi Amministratore della pagina Facebook MiGene (Mind the Gap Between Science and Society), Progetto Cariplo <https://www.facebook.com/ConnectingScience/>.

2018 - oggi Amministratore della pagina Facebook CROSS-NEUROD Trasferimento di modelli 3D di neurodegenerazione tra l' EU e gli USA per lo sviluppo di efficaci terapie per le malattie neurodegenerative <https://www.facebook.com/Cross-Neurod-1540753692724082/>.

09/04/2018 presso l'Istituto Comprensivo Rozzano: Ambasciatrice della scienza: progetto Hypatia a scuola, in collaborazione con il Museo Nazionale della Scienza e della Tecnologia Leonardo da Vinci

2017 - 2018 attività di divulgazione scientifica per "Notte dei ricercatori" presso il Museo della Scienza e della Tecnica Leonardo Da Vinci.

2018 - oggi attività di Laboratorio con bambini e ragazzi in età prescolare, della scuola primaria e media.

Data

14/04/2020

Luogo

Milano