

ALLEGATO A

UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DI MILANO

Procedura di selezione per la chiamata a professore di II fascia da ricoprire ai sensi dell'art. 18, comma 1, della Legge n. 240/2010 per il settore concorsuale 06/A1 - GENETICA MEDICA (settore scientifico-disciplinare MED/03 - GENETICA MEDICA) presso il Dipartimento di Scienze Biomediche e Cliniche, Codice concorso 5370

Pasquale Piccolo **CURRICULUM VITAE**

INFORMAZIONI PERSONALI

COGNOME	PICCOLO
NOME	PASQUALE
DATA DI NASCITA	15 MAGGIO 1982

TITOLI

TITOLO DI STUDIO

Laurea in Biotecnologie - indirizzo medico (vecchio ordinamento) conseguita il 27/07/2005
Università degli Studi di Napoli "Federico II"
Titolo della tesi: "Studio del modello murino dell'intolleranza alle proteine con lisinuria ottenuto mediante knock-out del gene *Slc7a7*".
Votazione: 110/110 *cum laude*

TITOLO DI DOTTORE DI RICERCA O EQUIVALENTI, OVVERO, PER I SETTORI INTERESSATI, DEL DIPLOMA DI SPECIALIZZAZIONE MEDICA O EQUIVALENTE, CONSEGUITO IN ITALIA O ALL'ESTERO

Dottorato di ricerca in "Riproduzione, sviluppo e accrescimento dell'uomo - indirizzo genetica e immunologia clinica" conseguito il 14/1/2009
Dipartimento di Pediatria - Università degli Studi di Napoli "Federico II"
Titolo della tesi: "Lysinuric protein intolerance: lessons from animal and cellular models"

ALTRI TITOLI CONSEGUITI

Abilitazione Scientifica Nazionale alle funzioni di professore universitario di II Fascia per il settore concorsuale 06/A2, Patologia Generale e Patologia Clinica (BANDO D.D. 553/2021 e 589/2021) valida dal 13/02/2023 al 13/02/2033

Abilitazione Scientifica Nazionale alle funzioni di professore universitario di II Fascia per il settore concorsuale 05/E2, Biologia Molecolare (BIO/11) (BANDO D.D. 1532/2016) valida dal 10/01/2020 al 10/01/2029

Abilitazione Scientifica Nazionale alle funzioni di professore universitario di II Fascia per il settore concorsuale 06/A1, Genetica Medica (MED/03) (BANDO D.D. 1532/2016) valida dal 07/01/2020 al 07/01/2029

ATTIVITÀ DIDATTICA

INSEGNAMENTI E MODULI

Docente di Terapia molecolare presso la Scuola Europea di Medicina Molecolare (SEMM) per il dottorato in Systems Medicine - curricula Human Genetics e Molecular Oncology. Insegnamento: “In vivo genome editing for the treatment of inborn errors of metabolism”. (dal 2019 ad oggi - 2 ore/anno)

Coordinatore del modulo “Molecular therapy: therapy for genetic diseases” nell’ambito del corso di dottorato in Systems Medicine della Scuola Europea di Medicina Molecolare (SEMM) per l’anno accademico 2018/2019

Docente per il master di II livello Clinical Science on Rare Diseases, organizzato dalla Università degli Studi della Campania “L. Vanvitelli”. Insegnamento: Terapia genica nelle malattie rare (1 dicembre 2022 - 2 ore)

ATTIVITÀ DI DIDATTICA INTEGRATIVA E DI SERVIZIO AGLI STUDENTI

ATTIVITÀ DI RELATORE DI ELABORATI DI LAUREA, DI TESI DI LAUREA MAGISTRALE, DI TESI DI DOTTORATO E DI TESI DI SPECIALIZZAZIONE

Relatore delle seguenti tesi di dottorato:

- Maria Battipaglia, Modulation of TRPML1/TFEB pathway for the treatment of Wilson disease (in corso) Dottorato in Systems Medicine - Scuola Europea di Medicina Molecolare (SEMM)
- Gemma Bruno, Liver fibrosis impairs hepatocyte transduction by AAV vectors (2023) - Dottorato in Systems Medicine - Scuola Europea di Medicina Molecolare (SEMM)

Correlatore delle seguenti tesi di laurea magistrale:

- Silvia Vivencio, Targeting autophagy for the treatment of Wilson disease (in corso) - Corso di Laurea Magistrale in Biologia Generale ed Applicata, indirizzo Biomolecolare - Università degli Studi di Napoli “Federico II”

ATTIVITÀ DI TUTORATO DEGLI STUDENTI DI CORSI DI LAUREA E DI LAUREA MAGISTRALE E DI TUTORATO DI DOTTORANDI DI RICERCA

Tutor per le seguenti tesi di dottorato:

- Rosanna Aiello, Improving the therapeutic potential of lysosomal enzymes to treat CNS in Lysosomal Storage Disorders (2020) - Dottorato in Systems Medicine - Scuola Europea di Medicina Molecolare (SEMM)

SEMINARI

“Overcoming the challenge of gene therapy in inborn error of metabolism with liver damage”, tenuto presso Genethon, Evry (FR) il 5 luglio 2023

ATTIVITÀ DI RICERCA SCIENTIFICA

PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE

1. Pastore N, Annunziata F, Colonna R, Maffia V, Giuliano T, Custode BM, Lombardi B, Polishchuk E, Cacace V, De Stefano L, Nusco E, Sorrentino NC, Piccolo P, Brunetti-Pierri N. Increased expression or activation of TRPML1 reduces hepatic storage of toxic α -1 antitrypsin Mol Ther 2023 Jul 1;S1525-0016(23)00375-1. doi: 10.1016/j.ymthe.2023.06.018.

2. Padula A, Petruzzelli R, Philbert SA, Church SJ, Esposito F, Campione S, Monti M, Capolongo F, Perna C, Nusco E, Schmidt HH, Auricchio A, Cooper GJS, Polishchuk R, Piccolo P. Full-length ATP7B reconstituted through protein trans-splicing corrects Wilson disease in mice. *Mol Ther Methods Clin Dev*. 2022 Aug 13;26:495-504. doi: 10.1016/j.omtm.2022.08.004
3. Piccolo P, Brunetti-Pierri N. Liver CHOP-and-change stress response. *Hepatol Commun*. 2022 Dec;6(12):3597. doi: 10.1002/hep4.2060.
4. Gradilone S, Brunetti-Pierri N, Piccolo P. Cholangiopathies and the noncoding revolution. *Curr Opin Gastroenterol*. 2022 Mar 1;38(2):128-135 doi:10.1097/MOG.0000000000000806. Review.
5. Piccolo P*, Ferriero R, Barbato A, Attanasio S, Monti M, Perna C, Borel F, Annunziata P, Carissimo A, De Cegli R, Quagliata L, Terracciano LM, Housset C, Teckman JH, Mueller C and Brunetti-Pierri N*. Up-regulation of miR-34b/c by JNK and FOXO3 protects from liver fibrosis. *Proc Natl Acad Sci USA* 2021, March 9; 118(10) e2025242118 doi: 10.1073/pnas.2025242118 *co-corresponding authors
6. Piccolo P, Rossi A, Brunetti-Pierri N. Liver-directed gene-based therapies for inborn errors of metabolism. *Expert Opin Biol Ther*. 2020 Oct 13:1-12. doi:10.1080/14712598.2020.1817375. Review
7. Attanasio S, Ferriero R, Gernoux G, De Cegli R, Carissimo A, Nusco E, Campione S, Teckman J, Mueller C, Piccolo P*, Brunetti-Pierri N*. CHOP and c-JUN up-regulate the mutant Z α -antitrypsin, exacerbating its aggregation and liver proteotoxicity. *J Biol Chem* 2020 Sep 18;295(38):13213-13223 doi:10.1074/jbc.RA120.014307. Cover article. *co-corresponding authors
8. Piccolo P, Sabatino V, Mithbaokar P, Polishchuk E, Hicks J, Polishchuk R, Bacino CA, Brunetti-Pierri N. Skin fibroblasts of patients with geleophysic dysplasia due to FBN1 mutations have lysosomal inclusions and losartan improves their microfibril deposition defect. *Mol Genet Genomic Med*. 2019 Sep;7(9):e844. doi: 10.1016/j.ymgmr.2019.100504
9. Piccolo P, Sabatino V, Mithbaokar P, Polishchuk E, Law SK, Magraner-Pardo L, Pons T, Polishchuk R, Brunetti-Pierri N. Geleophysic dysplasia: novel missense variants and insights into ADAMTSL2 intracellular trafficking. *Mol Genet Metab Rep*. 2019 Sep 5;21:100504. doi:10.1002/mgg3.844
10. Piccolo P, Annunziata P, Soria LR, Attanasio S, Barbato A, Castello R, Carissimo A, Quagliata L, Terracciano LM, Brunetti-Pierri N. Downregulation of HNF-4 α and defective zonation in livers expressing mutant Z α 1-antitrypsin. *Hepatology*, 2017 Jul;66(1):124-135. doi: 10.1002/hep.29160.
11. Piccolo P, Attanasio S, Secco I, Sangermano R, Strisciuglio C, Limongelli G, Miele E, Mutarelli M, Banfi S, Nigro V, Pons T, Valencia A, Zentilin L, Campione S, Nardone G, Lynnes TC, Celestino-Soper PBS, Spoonamore KG, D'Armiento FP, Giacca M, Staiano A, Vatta M, Collesi C, Brunetti-Pierri N. MIB2 variants altering NOTCH signalling result in left ventricle hypertrabeculation/non-compaction and are associated with Ménétrier-like gastropathy. *Hum Mol Genet* 2017 Jan 1;26(1):33-43. doi:10.1093/hmg/ddw365.
12. Castello R, Borzone R, D'Aria S, Annunziata P, Piccolo P, Brunetti-Pierri N. Helper-dependent adenoviral vectors for liver-directed gene therapy of primary hyperoxaluria type 1. *Gene Ther*. 2015 Nov 26. doi: 10.1038/gt.2015.107.
13. Piccolo P, Brunetti-Pierri N. Gene therapy for inherited diseases of liver metabolism. *Hum Gene Ther*. 2015 Apr;26(4):186-92. doi: 10.1089/hum.2015.029. Review
14. Brunetti-Pierri N, Torrado M, Fernandez MdC, Tello AM, Arberas C, Cardinale A, Piccolo P, Bacino C. Terminal osseous dysplasia with pigmentary defects (TODPD) due to a recurrent filamin A (FLNA) mutation. *Mol Genet Genomic Med*. 2014 Nov;2(6):467-471. doi: 10.1002/mgg3.90
15. Piccolo P, Annunziata P, Mithbaokar P, Brunetti-Pierri N. SR-A and SREC-I binding peptides increase HDAd-mediated liver transduction. *Gene Ther*. 2014 Nov;21(11):950-7. doi: 10.1038/gt.2014.71

16. Puppo A, Cesi G, Marrocco E, Piccolo P, Jacca S, Shayakhmetov DM, Parks RJ, Davidson BL, Colloca S, Brunetti-Pierri N, Ng P, Donofrio G, Auricchio A. Retinal transduction profiles by high-capacity viral vectors. *Gene Ther.* 2014 Oct;21(10):855-65. doi: 10.1038/gt.2014.57.
17. Polishchuk EV, Concilli M, Iacobacci S, Chesi G, Pastore N, Piccolo P, Paladino S, Baldantoni D, van IJzendoorn SC, Chan J, Chang CJ, Amoresano A, Pane F, Pucci P, Tarallo A, Parenti G, Brunetti-Pierri N, Settembre C, Ballabio A, Polishchuk RS. Wilson Disease Protein ATP7B Utilizes Lysosomal Exocytosis to Maintain Copper Homeostasis. *Dev Cell.* 2014 Jun 23;29(6):686-700. doi:10.1016/j.devcel.2014.04.033.
18. Piccolo P, Brunetti-Pierri N. Challenges and prospects for helper-dependent adenoviral vector-mediated gene therapy. *Biomedicine*, 2014 Apr; 2(2):132-148 doi: 10.3390/biomedicines2020132. Review.
19. Piccolo P, Mithbaokar P, Sabatino V, Tolmie J, Melis D, Schiaffino MC, Filocamo M, Andria G, Brunetti-Pierri N. SMAD4 mutations causing Myhre syndrome result in disorganization of extracellular matrix improved by losartan. *Eur J Hum Genet.* 2014 Aug;22(8):988-94. doi: 10.1038/ejhg.2013.283.
20. Pastore N, Nusco E, Piccolo P, Castaldo S, Vaníkova J, Vetrini F, Palmer DJ, Vitek L, Ng P, Brunetti-Pierri N. Improved efficacy and reduced toxicity by ultrasound-guided intrahepatic injections of helper-dependent adenoviral vector in Gunn rats. *Hum Gene Ther Methods.* 2013 Oct;24(5):321-7. doi:10.1089/hgtb.2013.108.
21. Pastore N, Blumenkamp K, Annunziata F, Piccolo P, Mithbaokar P, Maria Sepe R, Vetrini F, Palmer D, Ng P, Polishchuk E, Iacobacci S, Polishchuk R, Teckman J, Ballabio A, Brunetti-Pierri N. Gene transfer of master autophagy regulator TFEB results in clearance of toxic protein and correction of hepatic disease in alpha-1-anti-trypsin deficiency. *EMBO Mol Med.* 2013 Mar;5(3):397-412. doi:10.1002/emmm.201202046.
22. Piccolo P, Vetrini F, Mithbaokar P, Grove NC, Bertin T, Palmer D, Ng P, Brunetti-Pierri N. SR-A and SREC-I are Kupffer and endothelial cell receptors for helper-dependent adenoviral vectors. *Mol Ther.* 2013 Apr;21(4):767-74. doi:10.1038/mt.2012.287.
23. Merla G, Brunetti-Pierri N, Piccolo P, Micale L, Loviglio MN. Supravalvular aortic stenosis: elastin arteriopathy. *Circ Cardiovasc Genet.* 2012 Dec;5(6):692-6. doi: 10.1161/CIRCGENETICS.112.962860. Review.
24. Brunetti-Pierri N, Liou A, Patel P, Palmer D, Grove N, Finegold M, Piccolo P, Donnachie E, Rice K, Beaudet A, Mullins C, Ng P. Balloon catheter delivery of helper-dependent adenoviral vector results in sustained, therapeutic hFIX expression in rhesus macaques. *Mol Ther.* 2012 Oct;20(10):1863-70. doi:10.1038/mt.2012.143.
25. Strisciuglio C, Corleto VD, Brunetti-Pierri N, Piccolo P, Sangermano R, Rindi G, Martini M, D'Armiento FP, Staiano A, Miele E. Autosomal dominant Ménétrier-like disease. *J Pediatr Gastroenterol Nutr.* 2012 Dec;55(6):717-20. doi:10.1097/MPG.0b013e3182645c2f.
26. Brunetti-Pierri N, Piccolo P, Morava E, Wevers RA, McGuirk M, Johnson YR, Urban Z, Dishop MK, Potocki L. Cutis laxa and fatal pulmonary hypertension: a newly recognized syndrome? *Clin Dysmorphol.* 2011 Apr;20(2):77-81. doi:10.1097/MCD.0b013e3283439676.
27. Dindot S*, Piccolo P*, Grove N, Palmer D, Brunetti-Pierri N. Intrathecal injection of helper-dependent adenoviral vectors results in long-term transgene expression in neuroependymal cells and neurons. *Hum Gene Ther.* 2011 Jun;22(6):745-51. doi:10.1089/hum.2010.147. Cover article. *co-first authors
28. Brunetti-Pierri N, Lachman R, Lee K, Leal SM, Piccolo P, Van Den Veyver IB, Bacino CA. Terminal osseous dysplasia with pigmentary defects (TODPD): Follow-up of the first reported family, characterization of the radiological phenotype, and refinement of the linkage region. *Am J Med Genet A.* 2010 Jul;152A(7):1825-31. doi: 10.1002/ajmg.a.33470.

29. Melis D, Pivonello R, Parenti G, Della Casa R, Salerno M, Balivo F, Piccolo P, Di Somma C, Colao A, Andria G. The growth hormone-insulin-like growth factor axis in glycogen storage disease type 1: evidence of different growth patterns and insulin-like growth factor levels in patients with glycogen storage disease type 1a and 1b. J Pediatr. 2010 Apr;156(4):663-70.e1. doi: 10.1016/j.jpeds.2009.10.032.
30. Sperandeo MP, Annunziata P, Bozzato A, Piccolo P, Maiuri L, D'Armiento M, Ballabio A, Corso G, Andria G, Borsani G, Sebastio G. Slc7a7 disruption causes fetal growth retardation by downregulating Igf1 in the mouse model of lysinuric protein intolerance. Am J Physiol Cell Physiol. 2007 Jul;293(1):C191-8. doi: 10.1152/ajpcell.00583.2006

ORGANIZZAZIONE, DIREZIONE E COORDINAMENTO DI CENTRI O GRUPPI DI RICERCA NAZIONALI E INTERNAZIONALI O PARTECIPAZIONE AGLI STESSI

- 2019-ad oggi Direzione del gruppo di ricerca "Liver-directed gene therapy" presso il Telethon Institute of Genetics and Medicine di Pozzuoli (NA) in qualità di group leader
- 2009-2019 Partecipazione al gruppo di ricerca diretto dal prof. Nicola Brunetti-Pierri presso il Telethon Institute of Genetics and Medicine di Pozzuoli (NA) in qualità di post-doctoral fellow
- 2008-2009 Partecipazione al gruppo di ricerca diretto dal prof. Philip Ng presso il Dipartimento di Genetica Umana e Molecolare del Baylor College of Medicine di Houston, TX (US) in qualità di pre-doctoral fellow
- 2005-2008 Partecipazione al gruppo di ricerca diretto dal prof. Generoso Andria presso il Dipartimento di Pediatria dell'Università di Napoli "Federico II" in qualità di dottorando di ricerca
- 2002-2005 Partecipazione al gruppo di ricerca diretto dal prof. Gianfranco Sebastio presso il Dipartimento di Pediatria dell'Università di Napoli "Federico II" in qualità di studente interno
- Realizzazione di attività progettuale finanziata da bandi competitivi:
- 2022-in corso AAVolution - Next-generation AAV vectors for liver-directed gene therapy
Agenzia: European Innovation Council
Ruolo: Coordinatore di unità di ricerca
- 2022-in corso Mitochondrial dysfunction in α 1-antitrypsin deficiency-associated liver disease
Agenzia: Alpha-1 Foundation
Ruolo: Principal investigator
- 2022-in corso Promoterless liver genome editing for Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis type3
Agenzia: European Association for the Study of the Liver
Ruolo: Principal investigator
- 2020-2022 Micro-RNA based therapy for Primary Sclerosing Cholangitis
Agenzia: PSC Partners Seeking a Cure
Ruolo: Principal investigator
- 2018-2020 Metabolic alterations in liver disease due to Z α 1-antitrypsin
Agenzia: Alpha-1 Foundation
Ruolo: Principal investigator
- 2018-2020 Titolo: FOXO3/miR-34c axis for the treatment of genetic and acquired liver fibrosis
Agenzia: Università degli Studi di Napoli "Federico II" / Compagnia di San Paolo
Ruolo: Principal investigator
- 2017-2020 Titolo: Regulation of autophagy in liver disease due to Z α 1-antitrypsin
Agenzia: Alpha-1 Foundation

	Ruolo: Principal investigator
2016-2017	Titolo: miRNAs as biomarkers for AATD-related liver disease Agenzia: Grifols, S.A. Ruolo: Principal investigator
2013-2015	Titolo: Terapia genica per i disordini ereditari del metabolismo Agenzia: Ministero della Salute Ruolo: coordinatore di unità di ricerca

ATTIVITÀ QUALI LA DIREZIONE O LA PARTECIPAZIONE A COMITATI EDITORIALI DI RIVISTE SCIENTIFICHE

Membro dell'editorial board in qualità di reviewer editor delle seguenti riviste: Frontiers in Molecular Medicine - speciality section Gene and Virotherapy (dal 2021); Frontiers in Pediatrics and Frontiers in Genetics - speciality section Genetic disorders (dal 2020)

Attività di revisione tra pari per le seguenti riviste internazionali: Nature Communications, Molecular Therapy Methods and Clinical Development, Bioengineered, Frontiers in Pediatrics, Frontiers in Oncology, Scientific Reports.

TITOLARITÀ DI BREVETTI

WO2022184650A1 - Brunetti-Pierri N, **Piccolo P**, Ferriero R. Use of microRNAs in the treatment of fibrosis

WO2021209574A1 - Auricchio A, Lyubenova H, **Piccolo P**, Monti M, Padula A, Esposito F. Constructs comprising inteins

PREMI E RICONOSCIMENTI NAZIONALI E INTERNAZIONALI PER ATTIVITÀ DI RICERCA

2022 Daniel Alagille award conferito European Association for the Study of the Liver (EASL) per il progetto "Promoterless liver genome editing for Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis type 3"

2018 Young Investigator Full Bursary attribuita dalla European Society for the Study of the Liver (EASL) per l'abstract: "Upregulation of miR-34c driven by JNK and FOXO3 in livers expressing mutant Z alpha1-antitrypsin" per partecipare all'International Liver Meeting, 11-15 aprile 2018, Parigi

2017 Gordon L. Snider Scholar Award conferito dalla Alpha-1 Foundation per il progetto: "Regulation of autophagy in liver disease due to Z alpha1-antitrypsin"

2016 Alpha-1 Antitrypsin Laurell's Training Award (ALTA) conferito da Grifols, S.A. per il progetto "miRNAs as biomarkers for AATD-related liver disease"

2015 Scholarship conferita dalla European Society for Paediatric Gastroenterology Hepatology and Nutrition (ESPGHAN) per partecipare al workshop "Targeting liver disease at the DNA level", 29-30 ottobre 2015, Venezia

2013 Travel award dell'American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT) per l'abstract "Blocking of Scavenger-Receptor A Results in Increased HDAd Mediated Hepatocyte Transduction through Inhibition of Vector Particle Uptake by Kupffer Cells and Liver Sinusoidal Endothelial Cells" per partecipare al XVI ASGCT Annual Meeting, 15-18 maggio 2013 Salt Lake City, UT

PARTECIPAZIONE IN QUALITÀ DI RELATORE A CONGRESSI E CONVEGNI DI INTERESSE INTERNAZIONALE

Relatore a congressi e convegni:

1. Mechanisms of liver disease due to Z alpha-1 antitrypsin. EuroSerp meeting - Palermo 5-7 giugno 2023

2. Nuclease-free targeted integration of a promoterless mini-ATP7B confers proliferative advantage to edited hepatocytes and corrects Wilson disease. XXI Telethon Convention - Riva del Garda (TN) 13-15 marzo 2023
3. Vector genome integration and in vivo gene therapy: friends or foes? VI Congresso nazionale della Società Italiana di Virologia - Napoli, 3-5 luglio 2022
4. Developments in gene therapy for Wilson disease. Wilson Aarhus symposium - Aarhus (DK) 5-8 maggio 2022
5. AAV-Mediated Delivery of miRNA-34b/c Improves Liver Fibrosis. American Society for Gene and Cell Therapy (ASGCT) XXIV Annual Meeting, 11-14 maggio 2021 (evento online)
6. MiR-34b/c is upregulated by multiple liver injuries and protects against hepatic fibrosis induced by mutant Z α 1-antitrypsin. Alpha-1 Foundation Investigators' Meeting - 6 novembre 2020 (evento online)
7. MicroRNA profiling unravels upregulation of miR-34c driven by JNK and FOXO3 in livers expressing mutant Z α 1-antitrypsin. Molecular therapies for liver disease in α -1 antitrypsin deficiency - AATD2019 meeting - Pozzuoli, 20-21 settembre 2019
8. Global metabolic defect in livers expressing the Z mutant α 1-antitrypsin as a consequence of HNF-4 α downregulation and miR-34b/c upregulation Alpha-1 Foundation Investigators' Meeting - Miami, FL (USA), 6-7 settembre 2018
9. miRNAs as biomarkers for AATD-related liver disease. Grifols symposium at European Respiratory Society International Congress - Milano, 9-13 settembre 2017
10. Pathogenesis of liver disease induced by Z α 1-antitrypsin. I Italian α 1-AT Meeting - Brescia (ITA), 25 febbraio 2017
11. Left ventricle hypertrabeculation/non-compaction and inherited gastropathy associated to MIB2 gene variants altering NOTCH signaling. XIX Congresso della Società Italiana di Genetica Umana (SIGU) - Torino, 23-26 novembre 2016
12. miRNAs as biomarkers for AATD-related liver disease. Grifols symposium at the European Respiratory Society International Congress - Londra (UK), 3-7 settembre 2016
13. Skeletal and connective tissue disorders due to altered TGF- β signaling. IV Corso di Formazione in Genetica Medica - Benevento, 7-9 maggio 2015
14. Small peptides blocking SR-A and SREC-I increase HDAd mediated liver transduction through inhibition of Kupffer and liver sinusoidal endothelial cell uptake. XXI European Society for Gene and Cell Therapy Annual Meeting (ESGCT) - Madrid (ESP), 25-29 ottobre 2013

Organizzatore dei seguenti meeting internazionali:

1. "Molecular therapies for liver diseases in alpha-1 antitrypsin deficiency - AATD 2023" - Pozzuoli (NA), 7-8 settembre 2023
2. "Clinical in Vivo Gene Therapy with AAV Vectors: Now and Beyond - SEMM Technological Roundtable" - 17 dicembre 2021 (evento online)
3. "Molecular therapies for liver diseases in alpha-1 antitrypsin deficiency - AATD 2019" - Pozzuoli (NA), 20-21 settembre 2019

ATTIVITÀ GESTIONALI, ORGANIZZATIVE E DI SERVIZIO

INCARICHI DI GESTIONE E AD IMPEGNI ASSUNTI IN ORGANI COLLEGIALI E COMMISSIONI, PRESSO RILEVANTI ENTI PUBBLICI E PRIVATI E ORGANIZZAZIONI SCIENTIFICHE E CULTURALI, OVVERO PRESSO L'ATENEO O ALTRI ATENEI

Membro del collegio dei docenti della Scuola Europea di Medicina Molecolare (SEMM)

Membro della commissione di valutazione per le seguenti tesi di dottorato:

- Cesare Canepari, Improving the efficiency of in vivo lentiviral gene therapy to hepatocytes and application to familial hypercholesterolemia (2023) - Dottorato in Medicina Molecolare - Università Vita-Salute San Raffaele
- Antoine Gardin, Optimization of a gene therapy approach for glycogen storage disease type III using recombinant adeno-associated viral vectors (2023) - Dottorato in Structure and dynamics of living systems - Université Paris-Saclay
- Maria Iavazzo, MiT/TFE factors control ERphagy via transcriptional regulation of FAM134B (2022)- Dottorato in Systems Medicine - Scuola Europea di Medicina Molecolare (SEMM)

Membro della commissione esaminatrice della selezione pubblica (Bando di selezione n. IRGB/AR/007/2022MI) per titoli e colloquio, per il conferimento di n. 1 Assegno Post Dottorale per lo svolgimento di attività di ricerca "MicroRNAs miR-181a and b as new therapeutics targets in mitochondrial-mediated neurodegenerations" da svolgersi presso l'Istituto di Ricerca Genetica e Biomedica del CNR sede secondaria di Milano (nomina prot. n. 0004371/2022 del 09.12.22)

Membro del Grants Advisory Committee della Alpha-1 Foundation (dal 2023 ad oggi)

Membro della commissione di valutazione degli abstract per il congresso annuale della European Society of Human Genetics per gli anni 2022 e 2023

Membro della commissione di valutazione degli abstract per il congresso annuale dell'American Society of Gene & Cell Therapy - sezione Metabolic, Storage, Endocrine, Liver and Gastrointestinal Diseases per gli anni 2020 e 2021

Membro della commissione di valutazione dei poster per il congresso dell'American Society of Gene & Cell Therapy - sezione Metabolic, Storage, Endocrine, Liver and Gastrointestinal Diseases per gli anni 2019 e 2022

Membro del comitato scientifico dell'associazione italiana Malattia di Wilson (dal 2019 ad oggi)

Membro della commissione di monitoraggio e valutazione delle *facilities* (dal 2021 ad oggi) e dello stabulario (dal 2022 ad oggi) presso il Telethon Institute of Genetics and Medicine, Pozzuoli (NA)

ATTIVITÀ CLINICO ASSISTENZIALI

(indicare, data, durata, ruolo, ente presso il quale si è prestata attività assistenziale, ecc.)

--

Data

31 luglio 2023

Luogo

Marigliano (NA)