

CURRICULUM VITAE - STEFANIA PAOLA CORTI**INFORMAZIONI PERSONALI****Dati anagrafici**

Nome e cognome: Stefania Paola Corti
Luogo e Data di nascita: Milano, 15/6/1972
Cittadinanza: Italiana
Stato civile: nubile
Indirizzo del luogo di lavoro:
U.O. Neurologia
IRCCS “Fondazione Ca’ Granda,
Ospedale Maggiore Policlinico”.
Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti,
Sezione Neuroscienze
Universita' degli Studi di Milano
Via Francesco Sforza 35,
20122 Milano
Tel: 02/55033817;
FAX: 02/55033800
E-mail: stefania.corti@policlinico.mi.it; stefania.corti@unimi.it

Posizione attuale: Professore Associato di Neurologia (settore MED/26), Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti, Università degli Studi di Milano con **funzioni assistenziali** assegnate presso la Fondazione IRCCS Ca’ Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano.

ESPERIENZA PROFESSIONALE

dal 2015 a oggi **Professore Associato in Neurologia** (dal 2006-2015 **Ricercatore**) presso la Facoltà di Medicina e Chirurgia – Università degli Studi di Milano (Settore Scientifico Disciplinare MED/26- Neurologia, Settore Concorsuale 06/D6 - Neurologia). Afferente al Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti, sezione Neuroscienze

dal 2006- oggi riconoscimento delle funzioni assistenziali in qualità di **Dirigente Medico Neurologo** presso l’U.O. Neurologia IRCCS “Fondazione Ca’ Granda, Ospedale Maggiore Policlinico”.

Dal 2006-oggi **Co-Responsabile** del “Centro per le Malattie del Motoneurone, Servizio Ambulatoriale”, IRCCS “Fondazione Ca’ Granda, Ospedale Maggiore Policlinico

Dal 2006-oggi **Responsabile del Laboratorio** “Cellule Staminali Neurali”, Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti, Università degli Studi di Milano.

Dal 2006-oggi **Responsabile del Laboratorio** “Colture in vitro di mioblasti e fibroblasti” Il laboratorio collabora in modo integrante con la “Banca di tessuto muscolare, nervo periferico, DNA e colture cellulari”, Eurobiobank, Telethon.

Dal 2006-oggi **Co-responsabile** “Servizio di diagnostica molecolare” Laboratorio di Biochimica e Genetica Dipartimento di Scienze Neurologiche, Università degli Studi di Milano.

Da gennaio 2014 **Coordinatore** del “progetto NO-MND— Transferring NOn autonomous cell degeneration models between **EU and USA** for development of effective therapies for Motor Neuron Diseases (MND)”. Progetto di collaborazione e scambio scientifico tra UNIMI, il Motor Neuron Center, Columbia University, New York, N.Y., USA e la Biomedical Foundation, Academy of Athens, Grecia.

Febbraio 2014: Abilitazione Scientifica Nazionale - MIUR a **Professore Associato (II fascia)** in Neurologia.

Dicembre 2014: Abilitazione Scientifica Nazionale - MIUR a **Professore Ordinario (I fascia)** in Neurologia.

ISTRUZIONE E FORMAZIONE

- 1992 Maturità Classica presso il Liceo Ginnasio Classico Statale A. Manzoni Milano, con punteggio finale di **60/60**.
- 1994-1997 Allieva interna presso l'Istituto di Clinica Neurologica dell'Università degli Studi di Milano, diretto dal Prof. Guglielmo Scarlato
- 1997 **Laurea in Medicina e Chirurgia**, Università degli Studi di Milano in data 24/7/1997 con votazione di **110/110 cum laude** (Tesi sperimentale dal titolo: “Terapia genica cellulomediata per via intrarteriosa nella Distrofia Muscolare di Duchenne: studio in vivo e in vitro della transmigrazione endoteliale”, Relatore: Chiar.mo Prof. Guglielmo Scarlato; Correlatore Prof. Nereo Bresolin).
- 2003 **Specializzazione in Neurologia** conseguita in data 12/11/2003 presso l'Università degli Studi di Milano con votazione di **70/70 cum laude** (Tesi sperimentale dal titolo: “Contributo di cellule staminali ematopoietiche alla neurogenesi e biogenesi in topi SOD1-G93A modello murino della Sclerosi Laterale Amiotrofica”, Relatore: Chiar.mo Prof. Nereo Bresolin; Correlatore: Prof. Giacomo P. Comi).
- 2003-2006 **Dottorato di Medicina Molecolare** conseguito in data 09/01/2007 con indirizzo in Malattie Mono e Poligeniche, Università degli Studi di Milano, Giudizio della Commissione: **Eccellente** (Tesi dal Titolo: “Studio di sottopopolazioni cellulari staminali neuronali nello sviluppo di una terapia cellulomediata per le malattie del motoneurone”, Correlatore: Prof. Giacomo P. Comi).

ATTIVITÀ SCIENTIFICA

- 1994-1997 Attività di ricerca come studente interno nell'ambito dello studio delle malattie neurodegenerative e neuromuscolari presso il Dipartimento di Scienze Neurologiche, Università degli Studi di Milano Laboratorio Biochimica, Genetica e Colture Cellulari.
- Dic 97- apr 98 Borsa di studio presso l'Università degli Studi di Milano, nell'ambito di una ricerca dal titolo: "La patologia della catena respiratoria nel Morbo di Parkinson".
- Gen 98-Mar 98 Consulenza di Biologia Cellulare e Molecolare nell'ambito di Progetto di Ricerca Finalizzata Ospedale Maggiore: "Il trapianto dei mioblasti quale terapia nella patologia mitocondriale".
- Mag 98-Mar99 Borsa di Studio presso l'Istituto Scientifico Eugenio Medea Bosisio Parini nell'ambito di una ricerca dal titolo "L'iniezione intraortica di mioblasti e la migrazione intratessutale nello sviluppo della terapia genica della Distrofia muscolare di Duchenne".
- 1999-2003 Attività di ricerca come specializzando in Neurologia nell'ambito dello studio dei meccanismi eziopatogenetici e di nuovi approcci terapeutici e molecolari delle malattie neurodegenerative e neuromuscolari presso il Dipartimento di Scienze Neurologiche, Università degli Studi di Milano, Laboratorio Biochimica e Genetica.
- 2003-2006 Dottorato di Medicina Molecolare con indirizzo in Malattie Mono e Poligeniche, durante tale periodo ha svolto progetti di ricerca sviluppando nuovi approcci di terapia cellulo-mediata per le malattie del motoneurone.
- 2004-2005 Ricercatore con contratto di Collaborazione Coordinata Continuativa presso l'Università degli Studi di Milano Dipartimento di Scienze Neurologiche, progetto "Animali Geneticamente modificati per lo studio di patologie neurodegenerative" (FIRB).
- 2005 Visiting Researcher presso lo Stem Cell Institute, University of Minnesota, Minneapolis, MN, U.S.A. dove ha collaborato nell'ambito di protocolli sperimentali riguardanti lo studio di popolazioni cellulari staminali somatiche.
- Gen 2006-2015 Ricercatore Universitario, Settore disciplinare MED/26: Neurologia, Dipartimento di Scienze Neurologiche, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università degli Studi di Milano.
- 2015- oggi Professore Associato in Neurologia Settore disciplinare MED/26: Neurologia, Dipartimento di Scienze Neurologiche, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università degli Studi di Milano.
- Gen 2006-oggi E' Responsabile del "Laboratorio Cellule Staminali Neuronali" del Dipartimento di Scienze Neurologiche".

Paola Corti

Gen 2006-oggi Responsabile del Laboratorio “Colture in vitro di mioblasti e fibroblasti” Il laboratorio collabora in modo integrante con la “Banca di tessuto muscolare, nervo periferico, DNA e colture cellulari”, Eurobiobank, Telethon.

Gen 2006-oggi Co-responsabile servizio di diagnostica molecolare Laboratorio di Biochimica e Genetica Dipartimento di Scienze Neurologiche, UNIMI

2008-oggi E' membro del Consiglio Scientifico del "Centro Dino Ferrari" per lo studio e la terapia delle malattie neuromuscolari e neurodegenerative dell'Università degli Studi di Milano.

2011-oggi E' docente e membro del Consiglio della Scuola di Dottorato di Medicina Molecolare dell'Università degli Studi di Milano.

Gen 2009-oggi Ricercatore Confermato Università degli Studi di Milano.

Dal 2013 al 2015 Responsabile del Progetto “Induced Pluripotent Stem Cell Core Facility for ALS”

Da gennaio 2014 Coordinatore del “progetto NO-MND— Transferring NOn autonomous cell degeneration models between EU and USA for development of effective therapies for Motor Neuron Diseases (MND).”

Febbraio 2014: Abilitazione Scientifica Nazionale - MIUR a Professore Associato in Neurologia.

Dicembre 2014: Abilitazione Scientifica Nazionale - MIUR a Professore Ordinario in Neurologia.

2017-oggi membro della commissione ricerca Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti, Università degli Studi di Milano

2017-oggi membro del Comitato Tecnico Scientifico dell'IRCCS Fondazione Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico

Esperienza in Laboratori esteri

Visiting Researcher presso lo Stem Cell Institute, University of Minnesota, Minneapolis, MN, U.S.A., nell'anno 2005, dove ha collaborato, nell'ambito di protocolli sperimentali riguardanti lo studio di popolazioni cellulari staminali somatiche, nell'ambito di un Progetto triennale 2005-2008 tra lo Stem Cell Institute, University of Minnesota ed il Dipartimento di Scienze Neurologiche dell'Università degli Studi di Milano.

PRINCIPALI ARGOMENTI DI RICERCA

L'attività scientifica e di ricerca è svolta presso il Dipartimento di Fisiopatologia Medica e Chirurgica e dei trapianti, Sezione Neuroscienze dell'Università degli Studi di Milano e presso l'Unità Operativa di Neurologia della Fondazione IRCCS "Ospedale Maggiore Policlinico, Mangiagalli e Regina Elena".

Dal 2006-oggi Responsabile del Laboratorio "Cellule Staminali Neurali", Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti, Università degli Studi di Milano. <http://www.centrodinoferrari.com/laboratori/laboratorio-di-cellule-staminali-neurali/>

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 Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico.

Il gruppo di ricerca è composto da 18 giovani ricercatori: 4 MD e 5 MD students, 3 PhD, 2 PhD students e 4 Laureati in Scienze Biologiche/Biotecnologiche.

In questi anni il laboratorio ha contribuito con originalità allo sviluppo di strategie terapeutiche cellulari e molecolari per patologie neuromuscolari eneurodegenerative, in particolare sviluppando il primo approccio sperimentale con cellule staminali in malattie del motoneurone ad esordio infantile – Atrofia Muscolare Spinale (SMA) e Atrofia muscolare spinale con distress respiratorio (SMARD1) – contribuendo anche allo sviluppo di tali strategie in forme motoneuronali dell'adulto come la Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA). Ha inoltre sviluppato per la prima volta strategie di terapia genica nella SMARD1 e in neuropatie ereditarie (Malattia di Charcot-Marie-Tooth 2 di tipo 2A), contribuendo allo sviluppo di tali strategie e di quelle con oligonucleotidi per la SMA e SLA. Questi risultati sono stati pubblicati in prestigiose riviste internazionali peer-reviewed tra cui Science Translational Medicine, Journal of Clinical Investigation, Stem Cell Reports, Neuron etc.

L'eccellente professionalità scientifica acquisita nel campo delle cellule staminali, in particolare delle cellule staminali pluripotenti e nel campo delle malattie neuromuscolari e del motoneurone è riconosciuta anche a livello nazionale ed internazionale come testimoniano i progetti collaborativi in corso e la partecipazione a seminari/congressi come invited speaker.

I principali **contributi di ricerca** hanno riguardato:

1) Meccanismi molecolari delle malattie del motoneurone

- Analisi molecolare e correlazioni genotipo/fenotipo in soggetti affetti da forme sporadiche e familiari di malattie del motoneurone

2) Studio di strategie terapeutiche cellulo-mediate nelle malattie del motoneurone

- Strategie terapeutiche basate sul trapianto di cellule staminali per la Sclerosi Laterale Amiotrofica
- Trapianto di cellule staminali neuronali come strategia terapeutica per l'Atrofia Muscolare Spinale (SMA)
- Sviluppo di approcci cellulo-mediate come terapia per l'Atrofia Muscolare Spinale con Distress Respiratorio di tipo 1 (SMARD1)
- Definizione di protocolli pre-clinici di trapianto cellulare in vivo

- Identificazione dei meccanismi molecolari alla base dell'effetto terapeutico di cellule staminali neuronali in modelli di malattie del Motoneurone

3) Meccanismi molecolari del mantenimento della staminalità e del differenziamento in senso neuronale e motoneuronale

- Generazione e analisi delle caratteristiche biologiche di diverse popolazioni di cellule staminali tra cui cellule staminali somatiche riprogrammate **“induced pluripotent stem cells”** (iPS)
- Isolamento di popolazioni di cellule staminali neuronali primitive basato sull'uso di marker di superficie e di proprietà fisiche e biochimiche
- Studio del differenziamento di cellule staminali in senso motoneuronale in termini di definizione di protocolli in vitro e di studio molecolare degli eventi differenziativi
- Identificazione di motivi genici motoneurono-specifici mediante analisi comparativa genomica e screening in vitro

4) Studio di strategie terapeutiche di terapia genica nelle malattie neurodegenerative e neuromuscolari

- Sviluppo di un approccio combinato di molecole farmacologiche e di oligonucleotidi antisenso come potenziale strategia terapeutica per l'Atrofia Muscolare Spinale
- Sviluppo di approcci molecolari come terapia per l'Atrofia Muscolare Spinale con Distress Respiratorio di tipo 1
- Sviluppo di approcci molecolari come terapia per la CMT2A

5) Meccanismi molecolari delle malattie neurodegenerative

- Studio eziopatogenetico molecolare e correlazioni genotipo fenotipo nella Malattia di Alzheimer, Demenza Fronto-temporale e Malattia di Parkinson

6) Meccanismi molecolari delle malattie mitocondriali

- Caratterizzazione clinica e patologica di casi familiari di malattie mitocondriali
- Analisi genica high throughput per l'identificazione di nuovi geni responsabili di malattie mitocondriali
- Studi funzionali in modelli in vitro e in vivo di mutazioni in geni note e in nuovi geni mitocondriali
- Studio molecolare di alcune proteine della membrana mitocondriale interna in pazienti mitocondriali

7) Analisi bio-molecolari dell'eziopatogenesi delle malattie muscolari (Distrofie Muscolari e Miopatie):

- Studio dell'eziologia molecolare, la patogenesi, le correlazioni genotipo-fenotipo, la caratterizzazione clinico-diagnostica e prognostica delle distrofinopatie e delle Distrofie Muscolari dei Cingoli (Limb Girdle Muscular Dystrophies, LGMD)
- Studio delle miopatie metaboliche attraverso un'indagine clinico-biochimica e poi molecolare, con caratterizzazione dei difetti della via glicogeno e glicolitica (deficit dell'enzima debranchificante, di maltasi acida, di miofosforilasi di fosfogliceratomutasi, di β -enolasi) e lipolitica (deficit della β -ossidazione mitocondriale, di carnitina e dell'enzima carnitina palmitoiltransferasi)
- Analisi clinico-molecolare delle Canalopatie muscolari

Laboratorio “Colture in vitro di mioblasti e fibroblasti” e “Servizio di colture cellulari e banca cellulare”, Eurobiobank, Telethon.

Dal 2006-oggi **Responsabile del Laboratorio** “Colture in vitro di mioblasti e fibroblasti” Il laboratorio collabora in modo integrante con la “Banca di tessuto muscolare, nervo periferico, DNA e colture cellulari”, Eurobiobank, Telethon.

La banca è stata istituita con lo scopo di raccogliere e conservare campioni biologici, rendendoli disponibili sia per eventuali scopi di ricerca sia per scopi diagnostici quando nuove acquisizioni scientifiche permettono un inquadramento nosografico che all’epoca dello stoccaggio non era stato possibile.

Dal 1999 è in parte finanziata dalla Fondazione Telethon (Dal 2013 Progetto GTB12001– Telethon Network of Genetic Biobanks (<http://www.biobanknetwork.org/>). Dal 2002 è diventata partner del progetto Eurobiobank (<http://www.eurobiobank.org/>), finanziato dalla Comunità Europea, coordinato prima da Eurordis (Organizzazione Europea per le Malattie Rare) e attualmente da Telethon. Dal 2002 al luglio 2005 la Biobanca è dotata di un sistema qualità con Certificazione ISO 9001 rilasciato da parte della società Det Norske Veritas. Dal luglio 2005 il sistema qualità della Biobanca è certificato dalla società BVQI.^[1] Da Luglio 2013 è entrata a far parte dell’Infrastruttura di ricerca europea Biobanking and Biomolecular Resources Research Infrastructure (BBMRI). La Biobanca è gestita sotto la direzione della UOSD Malattie Neuromuscolari e rare in collaborazione con la UO di Neurologia, con il Prof. N. Bresolin ed il Prof. G.P. Comi del Laboratorio di Biochimica e Genetica e del laboratorio di Colture in vitro di mioblasti e fibroblasti diretto dalla Prof.ssa Corti dell’Università degli Studi di Milano, Fondazione IRCCS Cà Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano.

La Biobanca custodisce un considerevole numero di campioni biologici di pazienti affetti da diverse malattie rare neuromuscolari, che sono analizzati con finalità sia diagnostiche che di ricerca. Attualmente nella Biobanca sono conservati oltre 10.000 biopsie di muscolo scheletrico, circa 4232 inclusioni in resina per Microscopia Elettronica e 438 campioni di nervo periferico per studi morfologici. Sono inoltre disponibili campioni di DNA e colture cellulari.

Campioni Biologici Conservati suddivisi per patologia: (link <http://www.centrodinoferrari.com/public/uploads/2013/09/Tabella-dei-campioni-biologici-conservati-nella-Biobanca.pdf>)

ATTIVITA' DI RICERCA CLINICA E PARTECIPAZIONE A STUDI CLINICI

La Prof.ssa Corti ha svolto attività di **ricerca clinica in trial clinici farmacologici** di fase II e fase III in pazienti affetti da malattie neuromuscolari in particolare Distrofia Muscolare di Duchenne e Amiotrofia Spinale.

1. 2008-2009 **Study Coordinator** dello studio Clinico internazionale PTC124-GD-007-DMD, studio multi-centrico, randomizzato, in doppio cieco placebo e controllo sull'efficacia del farmaco Ataluren nella Distrofia Muscolare di Duchenne.
2. 2009-2010 **Study Coordinator** nello studio Clinico: "Phase 2b Extension Study of Ataluren (PTC124) in Duchenne/Becker Muscular Dystrophy (DMD/BMD). Protocollo PTC124-GD-007e-DMD. Questo studio di estensione ha valutato la sicurezza del farmaco Ataluren (PTC124) in pazienti DMD/BMD con mutazioni nonsense.
3. 2011-2014 **Sub-investigator** nello studio "Phase II, multicenter, randomized, adaptive, double-blind, placebo controlled study to assess safety and efficacy of olesoxime TRO19622) in 3-25 year old Spinal Muscular Atrophy (SMA) patients". "Studio di fase II, multicentrico, randomizzato, adattivo, in doppio cieco, controllato con placebo per valutare la sicurezza e l'efficacia di olesoxime (TRO19622) in pazienti affetti da atrofia muscolare spinale (SMA) tra 3 e 25 anni" (TRO19622CLEQ 1275-1)
4. 2011-2013 **Sub-investigator** nel trial clinico "A randomized, double-blind, placebo controlled clinical study to assess the efficacy and safety of GSK2402968 in ambulant subjects with Duchenne muscular dystrophy. Protocollo GSK114044. Studio di fase III, randomizzato in doppio cieco verso placebo, per valutare l'efficacia e la sicurezza del farmaco GSK2402968 promuovente l'exon skipping dell'esone 51 del gene DMD.
5. 2012-2014 **Sub-investigator** nel trial clinico "An open-label extension study of the longterm safety, tolerability and efficacy of GSK2402968 in subjects with Duchenne Muscular Dystrophy" Protocollo GSK114349, fase di estensione del precedente studio.
6. 2012-ad oggi **Sub-investigator** nel trial clinico "An Open-Label Study for Previously Treated Ataluren (PTC124®) Patients with Nonsense Mutation Dystrophinopathy" Protocollo PTC124-GD-019-DMD.
7. 2013-2014 **Sub-investigator** nel trial clinico "A Phase 3 Efficacy and Safety Study of Ataluren (PTC124) in Patients with Nonsense Mutation Dystrophinopathy". Protocollo PTC124-GD-020-DMD
8. 2013-ad oggi **Sub-investigator** nel trial clinico "A Two-Part Study to Assess the Safety and Tolerability, Pharmacokinetics, and Effects on Histology and Different Clinical Parameters of Givinostat in Ambulant Children with Duchenne Muscular Dystrophy" Protocollo DSC/11/2357/43, studio con farmaco Givinostat in pazienti deambulanti.
9. 2014-2016 **Sub-investigator** nel trial clinico H6D-MC-LVJJ "A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Phase 3 Trial of Tadalafil for Duchenne Muscular Dystrophy"
10. 2014 - ad oggi **Sub-investigator** nel trial clinico "A Phase 3 Extension Study of Ataluren (PTC124) in patient with nonsense mutation dystrophinopathy". Protocollo PTC124-GD-020e-DMD

11. 2016–2018 **Sub-investigator** nel trial clinico "OLEOS multicenter, open-label, single arm study to evaluate long-term safety, tolerability and effectiveness of 10mg/kg olexosime in patients with sma" Protocollo BN29854
12. 2017 – ad oggi **Sub-investigator** nel trial clinico "A Two Part Seamless, Open-label, Multicenter Study to Investigate the Safety, Tolerability, Pharmacokinetics, Pharmacodynamics and Efficacy of RO7034067 in Infants with Type 1 Spinal Muscular Atrophy" Protocollo BP39056
13. 2017 – ad oggi **Sub-investigator** nel trial clinico "A Two-Part Seamless, Multi-Center Randomized, Placebo-Controlled, Double-blind Study to Investigate the Safety, Tolerability, Pharmacokinetics, Pharmacodynamics and Efficacy of RO7034067 in Type 2 and 3 Spinal Muscular Atrophy Patients" Protocollo BP39055
14. 2017 – ad oggi **Sub-investigator** nel trial clinico "Randomised, Double Blind, Placebo Controlled, Multicentre Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Givinostat in Ambulant Patients with Duchenne Muscular Dystrophy" Protocollo DSC/14/2357/48
15. 2017 - **Sub-investigator** nel trial clinico "Randomised, Double Blind, Placebo Controlled, Multicentre Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Givinostat in Ambulant Patients with Becker Muscular Dystrophy" Protocollo DSC/14/2357/53
16. 2017 - ad oggi **Sub-investigator** nel trial clinico "Long-Term Observational Study of Translarna Safety and Effectiveness in Usual Care" Protocol PTC124-GD-025o-DMD
17. 2017 – ad oggi **Sub-investigator** "Open label, long-term safety, tolerability, and efficacy study of GIVINOSTAT in all DMD patients who have been previously treated in one of the GIVINOSTAT studies" DSC/14/2357/51
18. 2018 – **Sub-Investigator** "Studio di coorte retrospettivo sulla storia naturale dell'Atrofia Muscolare Spinale di tipo 1 utilizzando i dati delle cartelle cliniche" / Numero di Protocollo: BP39859 – ANCHOVY"
19. 2018- ad oggi **Principal Investigator** nel trial clinico European, Phase 3, Open-Label, Single-Arm, Single-Dose Gene Replacement Therapy Clinical Trial for Patients with Spinal Muscular Atrophy Type 1 With One or Two SMN2 Copies Delivering AVXS-101 by Intravenous Infusion

COLLABORAZIONI NAZIONALI ED INTERNAZIONALI

Le capacità collaborative della Dott.ssa Corti sono testimoniate dai positivi risultati scientifici ottenuti nei consorzi e nei progetti multicentri nazionali ed internazionali, di molti dei quali è coordinatore. La Dott.ssa Corti collabora attualmente ai seguenti progetti:

1. "Studio dei meccanismi molecolari non-cell autonomous nelle malattie del motoneurone" e Progetto NO-MND— "Transferring NOn autonomous cell degeneration models" Motor

Paola Corti

Neuron Center, e progetto CROSS-NEUROD Transferring autonomous and non autonomous cell degeneration 3D models between EU and USA for development of effective therapies for neurodegenerative diseases (ND) CROSS-NEUROD Columbia University, Prof. S. Przedborski, director of the Center, and Prof. D. Re, New York, N.Y., USA.

2. Progetto NO-MND— “Transferring NON autonomous cell degeneration models” e progetto CROSS-NEUROD Transferring autonomous and non autonomous cell degeneration 3D models between EU and USA for development of effective therapies for neurodegenerative diseases (ND) CROSS-NEUROD Prof. L. Stefanis Biomedical Foundation, Academy of Athens, Grecia.

La Dott.ssa Stefania Corti è coordinatore di un programma di Scambio Scientifico Collaborativo tra l’Università degli Studi di Milano, il Motor Neuron Center, Columbia University e la BRFFA supportato dalla Comunità Europea (“No: 612578, NO-MND— Transferring Non autonomous cell degeneration models between EU and USA for development of effective therapies for Motor Neuron Diseases (No-MND) Call FP7-PEOPLE-2013-IRSES” e progetto CROSS-NEUROD Transferring autonomous and non autonomous cell degeneration 3D models between EU and USA for development of effective therapies for neurodegenerative diseases (ND) CROSS-NEUROD). Il programma ha già realizzato periodi di permanenza di giovani ricercatori dall’UNIMI alla Columbia University, in un impegno commune nella ricerca di strategie terapeutiche per la SLA e la SMA.

3. “Studio di nuovi approcci di terapia genica per l’Atrofia Muscolare Spinale (SMA) e l’atrofia muscolare spinale con Distress Respiratorio (SMARD1)”, Prof. Kathrin Meyer, Ph.D, Ricercatore, The Research Institute at Nationwide Children’s Hospital/ The Ohio State University, Center for Gene Therapy, Columbus, Ohio, USA.

Il programma collaborativo ha già portato alla realizzazione di stage di giovani ricercatori dall’UNIMI alla Ohio State University con lo scopo di sviluppare trial clinici di terapia genica per la SMA e la SMARD1.

4. “Identificazione di molecole con un ruolo neuroprotettivo nelle malattie del motoneurone”, Prof. Eva Hedlund, PhD, Professore Associato di Neurobiologia, Department of

Paola Corti

Neuroscience, Karolinska Institutet, Stockholm Sweden. Il programma ha previsto la permanenza di giovani ricercatori del Karolinska Institutet presso i laboratori UNIMI.

5. “Patogenesi molecolare delle SLA familiare associata a FUS”, Dr. Marc Ruepp (King's College London UK) e Prof. Mühlemann O, University of Bern. Il programma ha previsto lo scambio di ricercatori tra l’University of Bern e UNIMI.
6. “Studio di oligonucleotidi coniugati con peptidi per lo sviluppo di una strategia terapeutica della SMA”, Prof. H. Moulton Oregon University. Questo progetto prevede lo sviluppo di nuovi peptidi per implementare la biodistribuzione e l’efficacia di oligonucleotidi con l’obiettivo di un impiego clinico.
7. “ Ruolo dei trasportatori della riboflavin nelle malattie del motoneurone: Analisi genetiche delle Sindromi Brown Vialetto Van Laere e Fazio Londe e sviluppo di nuove strategie terapeutiche per le malattie del motoneurone” Dr. Enrico Bertini, Laboratorio di Medicina Molecolare, Dipartimento di Neuroscienze, IRCCS Ospedale Bambino Gesù', Roma
8. “Basi Molecolari della Sclerosi Laterale Amiotrofica” SLAGEN consortium
9. “European ALS population study”, EURALS Consortium
10. “Sviluppo di una strategia terapeutica per mitofusinopatie” in collaborazione con l’Associazione Mitofusina 2 (<http://www.progettomitofusina2.com/it/associazione>).
11. University Medical Center Utrecht, Utrecht University, Olanda Prof. Jeroen Pasterkamp
12. Deutsches Zentrum für Neurodegenerative Erkrankungen (DZNE), Germania Prof. Michela Deleidi
13. Department of Neurology Universitair Ziekenhuis Leuven, Belgio, Prof. Philip Van Damme
14. IRCCS E. Medea Bosisio, Parini, Italy

15. Fondazione IRCCS Istituto Neurologico 'Carlo Besta'
16. IRCCS Istituto Neurologico 'C. Mondino', Pavia
17. IRCCS Auxologico, Università degli Studi di Milano, Prof. Vincenzo Silani e collaboratori
18. Humanitas Research Center, Milano Dr. Simona Lodato

FINANZIAMENTI COMPETITIVI OTTENUTI

PROGETTI SCIENTIFICI DI RICERCA ESEGUITI COME RESPONSABILE DI PROGETTO

Progetti Conclusi

1. Fondo **FIRST** 2006 (12 mesi), SC è il Principal Investigator (Finanziamento Università degli Studi di Milano)
2. Fondo **FIRST** 2007 (12 mesi), SC è il Principal Investigator (Finanziamento Università degli Studi di Milano)
3. **PUR** 2008 (12 mesi): “Trapianto di cellule staminali neuronali come strategia terapeutica per l'Atrofia Muscolare Spinale”, SC è il Principal Investigator (Finanziamento Università degli Studi di Milano)
4. **PRIN (MIUR)** 2006-2008 (36 mesi) “Molecular pathogenesis of motoneuron disorders as a tool for the identification of novel biomolecular and cellular therapeutic targets”, SC è responsabile di un'unità di ricerca (**Finanziamento Nazionale**)
5. **Progetto a Concorso Fondazione Ospedale Maggiore Policlinico Mangiagalli Regina Elena** 2009-2010 (24 mesi) dal titolo: “Cellule staminali di derivazione partenogenetica per lo sviluppo di una strategia terapeutica per l'Amiotrofia Muscolare Spinale (SMA)”, SC è il Principal Investigator
6. **PUR** 2009 (12 mesi): “Trapianto di cellule staminali neuronali derivate da cellule somatiche riprogrammate (iPS) come terapia cellulo-mediata nella Sclerosi Laterale Amiotrofica”, SC è il Principal Investigator (Finanziamento Università degli Studi di Milano)
7. **Progetto a Concorso Fondazione Ospedale Maggiore Policlinico Mangiagalli Regina Elena** 2010-2011 (24 mesi) dal titolo: “Trapianto di cellule staminali neuronali derivate da cellule somatiche riprogrammate (iPS) come terapia cellulo-mediata della Sclerosi Laterale Amiotrofica”, SC è il Principal Investigator
8. **Telethon GGP09107** 2010-2012 (36 mesi) “Neuroprotection in Spinal Muscular Atrophy (SMA) using neural stem cells as a therapeutic approach”, SC è il Principal Investigator (**Finanziamento Nazionale**), 257.900 Euro.
9. **MIUR, FIRB Futuro in Ricerca** Decorrenza: 2010-2016 Durata: 66 mesi “Development of a stem cell approach for motor neuron diseases”, 412.000 Euro, Principal Investigator, **Coordinatore** progetto monocentrico
10. **Ministero della Salute, Ricerca Finalizzata, Progetti di Ricerca Giovani Ricercatori**, 2012-2014 (36 mesi) “iPS derived neural stem cells for Spinal Muscular Atrophy Therapy (SMAThera)”, 452.858 Euro, Principal Investigator, progetto monocentrico (**Finanziamento Nazionale**)

Paola Corti

11. **Fondation Thierry Latran (TLF)** 2013-2016 (36 mesi) “Identification of oculomotor-restricted genes with motor neuron protective properties for the development of ALS therapeutics”, 128.000 Euro, Principal Investigator, **Coordinatore, (Finanziamento Internazionale)**
12. **AFM**, 2013-2015 (36 mesi) “SMN splicing correction mediated by Exon Specific U1 snRNA as therapy for spinal muscular atrophy” 60.000 Euro, co- Principal Investigator (**Finanziamento Internazionale**)
13. **Ministry of Health Grant**, 2013-2015 (36 mesi) “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”, 348.900 Euro. Principal Investigator, **Coordinatore del progetto, (Finanziamento Nazionale)**
14. **Progetto a Concorso Fondazione Ca’ Granda, I.R.C.C.S. Ospedale Maggiore Policlinico** 2013-2014 (24 mesi) dal titolo: “Correzione genica mediante genome-editing con TALE nucleasi di cellule staminali pluripotenti indotte per lo sviluppo di una terapia cellulo-mediata dell’Atrofia Muscolare Spinale (SMA)”. 50.000 Euro, Principal Investigator progetto monocentrico
15. **Fondazione Cariplo** 2013-2016 (48 mesi) “Pathogenetic role of differentially expressed/spliced genes in Spinal Muscular Atrophy” 260.000 Euro, Principal Investigator, **Coordinatore del progetto, (Finanziamento Nazionale)**
16. **ALS Association Grant (USA)** 2013-2014 (24 mesi) Amyotrophic lateral sclerosis (ALS) therapy via minimally invasive transplantation of a LeX+CXCR4+VLA4+ neural stem cell subpopulation derived from induced pluripotent stem cells. 120.000 \$, Principal Investigator, progetto monocentrico, (**Finanziamento Internazionale**)
17. **European Union 7PQ** 2014-2018 (48 mesi) NO-MND— Transferring NO autonomous cell degeneration models between EU and USA for development of effective therapies for Motor Neuron Diseases (MND). **FP7-PEOPLE-2013-IRSES Finanziamento Comunità Europea**). 375.900 Euro, Principal Investigator, **Coordinatore del progetto.**
18. **AriSLA** 2015-2018 (46 mesi) grant Project Title: ALS molecular therapy exploiting integrated small RNAs analysis of patient-derived induced pluripotent stem cells Project Acronym: smallRNALS, 200.250 Euro, Principal Investigator, **Coordinatore del progetto (Finanziamento Nazionale)**
19. **European Union JPND** grant 2015-2018 (36 mesi) Elucidation of common transcriptional targets in vulnerable DopAmine, Motor Neuron and frontotemporal Dementia disease PATHwayS 150.000 Euro (**Finanziamento Comunità Europea**). Principal Investigator di una unità operativa partner.

Progetti in corso

- 1) **Fondation Thierry Latran (TLF)** 2017-2019 (24 mesi) grant Modulating motor neuron vulnerability using the oculomotor restricted genes IGF-2 and SYT13 for ALS therapy, 144.000 Euro Principal Investigator, **Coordinatore del progetto. (Finanziamento Internazionale).**
- 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 Comunità Europea).** 342.480 Euro Principal Investigator, **Coordinatore del progetto.**
- 3) **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. 250.000 Euro (**Finanziamento Comunità Europea**). Principal Investigator, **Coordinatore del progetto.**

PARTECIPAZIONE A PROGETTI SCIENTIFICI DI RICERCA

1. Progetto di **Ricerca Finalizzata Ospedale Maggiore Policlinico** 1998: "Il trapianto dei mioblasti quale terapia nella patologia mitocondriale"
2. Progetto di **Ricerca** 1998-1999 dell'**Istituto Scientifico E. Medea** dal titolo "L'iniezione intraortica di mioblasti e la migrazione intratissutale nello sviluppo della terapia genica della Distrofia muscolare di Duchenne"
3. Progetto di **Ricerca Corrente 2000 dell'Istituto Scientifico E. Medea**, dal titolo "Risposta alla esposizione a dosi variabili di aminoglicosidi di colture muscolari di pazienti DMD non deleti"
4. **Ricerca Finalizzata 2001** "Isolamento, espansione e caratterizzazione di cellule staminali a scopo di trapianto e riparazione cellulare"; (STEM 2001)
5. Progetto di Ricerca Fondo per gli Investimenti nella Ricerca di Base (**FIRB**), **MIUR**, anno **2002**, RBNEO1PASK_001, dal titolo "Animali geneticamente modificati per lo studio di patologie neurodegenerative", coordinatore Nazionale Prof. Nereo Bresolin
6. **Progetto a Concorso IRCCS Ospedale Maggiore Policlinico** 2003-2004, Modulazione della neurogenesi originata da cellule staminali emopoietiche e valutazione del relativo significato terapeutico nel modello murino di Sclerosi Laterale Amiotrofica
7. **Progetto a Concorso IRCCS Ospedale Maggiore Policlinico** 2004-2005, Trapianto di cellule staminali di derivazione emopoietica come strategia di rigenerazione neuronale in topi nmd, modello animale di Amiotrofia Spinale
8. **Ricerca Finalizzata 2004-2005 Ministero della Salute**, dal titolo "Studio di protocolli di terapia cellulo-mediata nelle patologie neurodegenerative e nelle distrofie muscolari"
9. **Progetto a Concorso IRCCS Ospedale Maggiore Policlinico** 2005-2006, Caratterizzazione delle vie patogeneticamente rilevanti nelle encefalomiopatie
10. Ricerca **Istituto Superiore di Sanità 2006**, "Validazione preclinica dell'utilizzo di cellule staminali mesenchimali quale possibile terapia cellulo-mediata della SLA"
11. **Progetto a Concorso Ospedale Maggiore Policlinico 2006-2007**
12. **Telethon 2006** GGP06043, "Development of cellular and molecular therapeutic approaches for Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress (SMARD1)"
13. **Association Française contre les Myopathies, AFM** 2006, CL/NM 2006.0783/11750, "Development of neural stem cell transplantation as a potential therapy of Spinal Muscular Atrophy"

14. **Ex-Articolo 56**, 2007-2008 Basi molecolari delle malattie del motoneuron
15. **Cariplo Foundation** grant 2006-2008: “Multipotent Adult Progenitor Cells (MAPCs) transplantation for Amyotrophic Lateral Sclerosis therapy”
16. Progetto di **Ricerca Finalizzata 2007 Ministero della Salute**, Centro partecipante: "Mitochondrial Disorders: from medical genetics to molecular mechanisms, toward the developmenof therapeutic strategies"
17. **Ricerca Finalizzata, 2007, Ministero della Salute**, Centro partecipante, “Molecular basis of the early and juvenile onset forms of amyotrophic lateral sclerosis underlying the clinical heterogeneity and slow progression in these forms of motor neuron disease”
18. **Telethon-UILDM 2009**, dal titolo “Clinical, morphological and molecular study of Italian patients with congenital myopathy”, Unità Operativa.
19. **Telethon-UILDM 2009**, GUP09004 “Construction of a database for a nation-wide Italian collaborative network of mitochondrial diseases”
20. **Telethon UILDM 2010**, GUP10006 “Clinical and laboratory network for LGMD diagnosis, in view of a national registry”
21. **Sma Europe/FSMA grant 2008-2010**, ”Development of a stem cell approach for treating Spinal Muscular Atrophy”
22. **Telethon Grant 2010-2013** “Development of a therapeutic approach for Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress (SMARD1) using human induced pluripotent stem cell–derived neural stem cells and motor neurons”
23. **2011-2013 ARISLA: iPSC-NSC** therapy for Amyotrophic Lateral Sclerosis
24. **Telethon Grant 2011-2012** “Development of a registry and a database for a nation-wide Italian collaborative network on congenital muscular dystrophy”
25. **2012-14 UILDM-Telethon** “Sviluppo di un data base sulle distrofie muscolari congenite nel contesto di un network collaborativo nazionale per ricostruire elementi di storia naturale di queste malattie”

TRASFERIMENTO TECNOLOGICO/BREVETTI

-27/3/2019 Brevetto Depositato dal Titolo “Inibitori di miR129 e usi relative (titolare 25%)

-Dal 2013-2015 Responsabile del Progetto “Induced Pluripotent **Stem Cell Core Facility** for ALS”.

BORSE E PREMI DI STUDIO

- Dic 1997 - Apr 1998 Borsa di studio presso l'Università degli Studi di Milano
- Mag 1998 - Mar1999 Borsa di studio presso l'Istituto Scientifico Eugenio Medea Bosisio Parini
- 1998 **Vincitrice** del “Premio De Visart” assegnato a studenti o laureati che si siano distinti nell’ambito della ricerca scientifica nelle malattie neurologiche
- 1998-2003 Borsa di Specialità in Neurologia, Università degli Studi di Milano
- 2003 Borsa di Dottorato di Ricerca in Medicina Molecolare, Università degli Studi di Milano
- 2008 World Muscle Society **Award** Young Investigator Prize
- 2011 World Muscle Society **Award** Best Research in SMA
- 2012 ARISLA **Award** best presentation

PARTECIPAZIONE A COMITATI ISTITUZIONALI

2006 a oggi E’ membro del Consiglio della Scuola di Specialità in Neurologia, Università degli Studi di Milano.

2008 a oggi E’ membro del Comitato Scientifico del “Centro Dino Ferrari” per lo studio e la terapia delle malattie neuromuscolari e neurodegenerative, Università degli Studi di Milano.

2011-2018 E’ membro del Consiglio dei Docenti della Scuola di Dottorato in Medicina Molecolare, Università degli Studi di Milano.

2018-oggi E’ membro del Consiglio dei Docenti della Scuola di Dottorato in Medicina Traslazionale, Università degli Studi di Milano.

2019-oggi E’ membro della Giunta della Scuola di Dottorato in Medicina Traslazionale, Università degli Studi di Milano.

2016 a oggi E’ membro dello Scientific Advisory Board dell’organizzazione SMA Europe www.sma-europe.eu

2017 a oggi E’ membro dello Scientific Advisory Board dell’organizzazione Famglie SMA Italia

2017 a oggi membro del Comitato Tecnico Scientifico IRCCS Fondazione Ca’ Granda Ospedale Maggiore Policlinico

AFFILIAZIONI A SOCIETÀ SCIENTIFICHE

- Membro dell'Associazione Italiana di Neuropatologia dal 1999-oggi
- Membro dell'Associazione Italiana di Miologia (AIM) dal 1999-oggi
- Membro della Society for Neuroscience (SfN) dal 2004-oggi
- Membro dell'International Society for Stem Cell Research (ISSCR) dal 2004-oggi

PARTECIPAZIONE A CORSI FORMATIVI

- Marzo 1998 11° corso di genetica medica dell' "European School of Medical Genetics"
- Ottobre 2004 Corso per utilizzatori Microscopia Confocale, Dipartimento di Scienze Neurologiche

PARTECIPAZIONE A CONGRESSI NAZIONALI E INTERNAZIONALI

La Dott.ssa Corti dal 1996 ad oggi ha partecipato a più di 150 convegni scientifici nazionali internazionali nell'ambito delle Neuroscienze.

RESEARCH SYMPOSIUMS/INVITED TALKS:

2006 University of Milan, Auxologic Institute "Multipotent Stem Cells for Spinal Cord Diseases"

2006 University of Milan, "Clinical Role of Stem Cells; Stem cells in motor neuron diseases"

2007 Brenta Seminar, Stem cell Approach for Motor Neuron disease.

2008-2010 University of Milan, Dept of Neuroscience "Stem Cell for Neuromuscular Diseases"

2009 University of Milan, Department of Pharmacology "Development of stem cell approach for the treatment of motor neuron diseases: the importance of transgenic animal models".

2010 Lectures at the Karolinska Institute, Stockholm, Sweden, graduate student course "Stem Cells and Neurodegenerative disorders", Differentiation of neural stem and progenitor cells for therapeutic applications in motor neuron disorders, Stem cells as a potential treatment of motor neuron disorders

2010 University of Milan, Dept of Neuroscience "Stem Cell Approach for Treating Motor Neuron Diseases"

2010 Chairman nella sessione poster congresso AIM 2010

2011 Foundation Ca' Granda Seminar, "Stem cell for Motor Neuron Disorders"

- 2011 University of Larrisa (Greece), Dept of Neuroscience, “Stem Cell Therapy for Neuromuscular Diseases”
- 2011 Chairman nella sessione poster congresso AIM 2011
- 2013 Besta Seminar “Genetic correction of human induced pluripotent stem cells from patients with spinal muscular atrophy”
- 2013 CEND Seminar: “Induced pluripotent stem cells for the development of therapeutic strategies for motor neuron disorders”
- 2013 FIRST meeting: “Reprogramming of adult somatic cells into other lineages: past evidence and future perspectives”
- 2013 Congresso Famiglie SMA Italiane, “Come predire il potenziale terapeutico nella SMA della terapia genica e staminale”
- 2013 MND Days 5-6 September 2013 IRCSS San Camillo – Lido di Venezia “Staminal cells and animal model of SMA”
- 2014 University of Milan, Dept of Neuroscience March 12 2014 “Novel therapy for SMA”
- 2014 14/4/2014 Seminario Arisla: “Cellule staminali pluripotenti indotte (iPS): modelli di malattia e sviluppo di nuove terapie per la SLA”.
- 2014 Development of therapeutic strategies for motor neuron diseases, Seminario Ospedale di Lugano.
- 2014 7/4/2014 1°Convegno Monotematico MITOFUSINA 2: NEUROPATIE E FUSIONE MITOCONDRIALE, Milano; iPSC da fibroblasti cutanei come modello di malattia. (membro comitato organizzatore)
- 2014 50° Congresso dell’Associazione Italiana di Neuropatologia e Neurobiologia Clinica; 40° Congresso dell’Associazione Italiana di Ricerca sull’Invecchiamento Cerebrale Società Italiana di Neurologia; 5-7 Giugno 2014 Verbania: Neuroprotezione e modulazione della neurotossicità mediante l’uso di cellule staminali e loro derivati nello sviluppo di strategie terapeutiche per le malattie del motoneurone;
- 2014 FENS Satellite: MND_2014 (Milano, Italy); "Motor neuron diseases: molecular and cellular basis of selective vulnerability" July 3-4, 2014 in Milano; The potential of iPSCs to study spinal muscular atrophy (SMA).
- 2015 AAN plenary session Contemporary neurology
- 2015 Lectures at the Karolinska Institute, Stockholm, Sweden, graduate student course Motor neuron diseases and frontotemporal dementia: Practical applications of human neuropathology and stem cell modeling

2015 AIM lectures

2015 Lecture as invited speaker "The use of synthetic oligonucleotides to improve motor neuron survival in Spinal Muscular Atrophy" VI Meeting on the "Molecular Mechanisms of Neurodegeneration" Milan, Italy, May 28th- 30th, 2015, Milan

2015 ARISLA meeting

2016 JPND meeting day

2016 Parent Project Meeting, invited speaker

2016 Famiglie SMA meeting Roma, invited speaker

2016 congresso SIGU lecture

2016 Athens EM Neurology Congress

2017 Neurology Days, Volos Greece

2017 Convegno Le Lesioni del midollo spinale, Desio

2017 Sviluppi nella terapia della SMA Istituto Mendel Roma

2018 Invited talk SMA Europe Meeting Polonia

2018 AIM Lecture

2018 TLF meeting invited speaker

2018 convegno FOCUS ON ALS Genova invited talk: Stem cell therapy in ALS: challenges and perspectives

2018 Invited talk al convegno LE MALATTIE MUSCOLARI NELLA REALTÀ DEL TERRITORIO: l'importanza della diagnosi precoce

2018 evento organizzato da ARISLA: Cavenago ConosciamoSLA 13 Luglio 2018; invited talk

2018 Ciclo di Seminario Black Friday Besta seminario dal titolo TIME IS MOTOR NEURON: THERAPEUTIC WINDOW AND ITS CORRELATION WITH PATHOGENETIC MECHANISMS IN SPINAL MUSCULAR ATROPHY

2018 Chairman Convegno Famiglie SMA Roma

2018 International Summer School University of Pavia - Department of Molecular Medicine Lecture: Spinal Muscular Atrophy: from hopeless disease to new therapies

2018 Seminario presso Università S. Raffaele: Novità terapeutiche per le malattie neuromuscolari

2018 Giornata di Aggiornamento sulla SMA presso Istituto Besta, invited talk: Timing patogenetico e finestra terapeutica nella SMA

Gennaio 2019 AGGIORNAMENTI IN NEUROGENETICA seminario: SMA from models to mechanisms to therapy

Gennaio 2019 presso Istituto Lombardo ACCADEMIA DI SCIENZE E LETTERE, Brera Lecture: Sviluppi di terapia genica nelle malattie neurologiche: l'esempio della SMA

Gennaio 2019 presentazione TRANSALS meeting Istituto Neurologico Besta

9 Febbraio 2019 Primo Congresso Italiano SMARD1 invited talk: Aspetti clinici e molecolari dell'Atrofia Muscolare Spinale con distress respiratorio di tipo I (SMARD1)

20/2/2019 Incontri di neurologia-neurofisiologia pediatrica: SMA ed Esordio Neontale-Infantile tra diagnosi precoce, ricerca e terapie innovative /evento ECM

27/2/2019 E-rare Consortium meeting day

9/3/2019 Giornata Malattie Neuromuscolari Milano "nuovi aspetti terapeutici"

15/3/2019 Conferenza "Medicina Personalizzata e malattie neurodegenerative: stato dell'arte e prospettive future". Istituto Neurologico Mondino Invited talk: La terapia genica nelle malattie neurologiche l'esempio della SMA.

10-12 aprile 2019 XII Corso residenziale di Genetica Pediatrica Sindromi malformative complesse con disabilità intellettiva Starhotels Excelsior Bologna,. Invited speaker "Novità e prospettive nelle malattie neuromuscolari"

2019 TLF meeting invited speaker

6-7/9/2019 FSMA meeting Genova invited speaker "Recenti sviluppi di ricerca in ambito pre-clinico"

6-7/9/2019 FSMA meeting Genova moderatore di sessione

6-7/9/2019 FSMA meeting Genova invited speaker "Primi risultati di terapia genica"

14/10/2019 CROSS NEUROD Mid-term meeting chair e speaker.

21/11/2019 ARISLA meeting invited speaker

27/11/2019 2° Congresso Internazionale Distrofia dei cingoli da deficit di Calpaina 3 - Il paziente, la malattia, la cura, invited speaker. Terapie innovative nelle distrofie muscolari dei cingoli -

ATTIVITA' EDITORIALE:

Reviewer per > 25 riviste internazionali tra cui: Annals of Neurology, Brain, Neurology, PNAS, Science Translational Medicine.

Dal 2012-oggi membro dell'Editorial board della rivista Neuroscience Journal

Dal 2017-oggi membro dell'editorial board di Scientific Reports (Nature Publishing group)

Dal 2017-oggi membro dell'editorial board di Journal of Neuromuscular Diseases

ATTIVITA' DI VALUTAZIONE NELL'AMBITO DI PROCEDURE COMPETITIVE NAZIONALI E INTERNAZIONALI

- 2013 Commissario nell'esame di Ammissione alla Scuola di Dottorato di Medicina Molecolare
- 2010- Commisario in una procedura di selezione per 1 assegno di ricerca UNIMI
- 2012-Commisario in una procedura di selezione per 1 assegno di ricerca UNIMI
- 2014- Comissario in una procedura di selezione per 1 borsa per giovani promettenti UNIMI
- 2015 Commisario in una procedura di selezione per 1 assegno di ricerca UNIMI (Dr. Paola Rinchetti)
- 2015 Segretario in due procedure di assegni di ricerca.
- 2016 Membro di due procedure per assegni di ricerca
- 2017 Membro di due procedure per assegni di ricerca
- 2017 Commissario concorso UNIMI per tecnico Laureato 2017
- 2018 Membro Commissione di due procedure di selezione per assegni di ricerca UNIMI

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

- Grant Calls dell'Association Française contre les Myopathies (AFM), France

- SMA Europe Grant Calls (Europe)

-Muscular Dystrophy Campaign Grant Call (UK)

-University of Missouri Grant Call (USA)

-Motor Neuron Disease Call Switzerland

2014 Reviewer per progetti HORIZON2020 E-RARE CALL (Comunità Europea)

2015 Wellcome Trust Reviewer; Reviewer per progetti HORIZON2020 E-RARE CALL (Comunità

Europea), The Motor Neuron Disease Association (the UK)

2016 Reviewer for the German Research Foundation, NWO-CW (Netherlands), AFM-Telethon (France); Weston Foundation, The Prinses Beatrix Fonds, the Netherlands, ANR (Agence National Recherche, France), Canada ALS Association

2017 ANR Grant Call, ALS Canada Grant Call, Weston Brain Institute

2018 ERC Grant Call HORIZON2020 (Comunità Europea), UK Research Council, German Research Foundation, Alzheimer disease Research UK

ATTIVITÀ DIDATTICA

1. Corso di Laurea magistrale a ciclo unico in Medicina e Chirurgia

- Lezioni formali e attività tutoriale come **docente** nell'ambito dell'insegnamento di Malattie del Sistema Nervoso (MED26 settore 06/D6) presso il Polo Centrale della Facoltà di Medicina e Chirurgia dell'Università degli Studi di Milano (linee C- D-H): anni accademici 2006-2007, 2007-2008, 2008-2009. Polo Centrale 2009-oggi, Polo Centrale e San Giuseppe: 2011-oggi

2. Corso di Laurea Magistrale in Biotecnologie Mediche e Medicina Molecolare, Facoltà di Medicina e Chirurgia

- Lezioni formali come **docente** nell'ambito dell'insegnamento di Diagnostica Biotecnologica (C2) Corso di Laurea Magistrale in Biotecnologie Mediche e Medicina Molecolare della Facoltà di Medicina e Chirurgia dell'Università degli Studi di Milano: anni accademici 2006-oggi

3. Corsi di Laurea Triennale

- **Docente Titolare dell'insegnamento** di Neurologia (MED26 settore 06/D6) e **co-ordinatore** del Corso integrato di Medicina della Disabilità Neuropsichica nel Corso di Laurea di Scienze Infermieristiche della Facoltà di Medicina e Chirurgia dell'Università degli Studi di Milano: anni accademici 2006-oggi

4. Scuola di Specializzazione

- Lezioni formali come **docente** nel corso integrato di Neurologia (MED26 settore 06/D6) Pediatrica nella Scuola di Specializzazione in Neurologia: anni accademici 2006-oggi
- E' **Membro** del Consiglio dei Docenti della Scuola di Specialità in Neurologia, Università degli Studi di Milano

5. Scuola di Dottorato di Medicina Molecolare

- 2011-oggi **Docente** nella Scuola di Dottorato di Medicina Molecolare
- E' **Membro** del Consiglio dei Docenti della Scuola di Dottorato in Medicina Molecolare, Università degli Studi di Milano

6. Scuola di Specialità in Genetica Medica

- 2014-oggi **Docente** nella Scuola di Specialità di Genetica Medica
- E' **Membro** del Consiglio dei Docenti Scuola di Specialità di Genetica Medica

7. Lecturer:

2010 Lectures at the Karolinska Institute, Stockholm, Sweden, graduate student course "Stem Cells and Neurodegenerative disorders", Differentiation of neural stem and progenitor cells for therapeutic applications in motor neuron disorders, Stem cells as a potential treatment of motor neuron disorders.
2015 Lectures at the Karolinska Institute, Stockholm, Sweden, "Motor neuron diseases and frontotemporal dementia: Practical applications of human neuropathology and stem cell modeling", hosted by Prof. Eva Hedlund.

7. Partecipazione in Commissioni di Tesi di Laurea e Supervisione in progetti di tesi:

Paola Corti

Relatore di 7 tesi di Laurea in Medicina e Chirurgia

Sebastiano Crisafulli
Matteo Saladini
Kordelia Barbullushi
Martina Perego
Silvia Tamanini
Giulia Corbella
Davide Resnati

Correlatore di 18 tesi di Laurea in Medicina e Chirurgia:

Maria Sara Cipolat
Francesco Tafuri
Fiammetta Vanoli
Beatrice Dal Fabbro
Emanuele Frattini
Francesca Porro
Giulia Stuppia
Irene Faravelli
Chiara Zanetta
Mariya Malova
Giulietta Riboldi
Alessandra Cosi
Alessandra Govoni
Francesca Gianni
Nicoletta Mezzina
Fabio Di Giacomo
Arianna Tucci
Michela Ranieri

• **Correlatore** di 4 tesi di Laurea in Biotecnologie:

Cora Fontana
Paola Rinchetti
Elisa Fassone
Fabio Capra

• **Correlatore** di 1 tesi di Laurea in Farmacia:

Mafalda Rizzuti

• **Relatore** di due tesi di Laurea in Scienze Infermieristiche:

Mariana Siddi
Brisabel Victoria Gamez Tenicela

• **Correlatore** di 1 tesi di Specialità in Neurologia:

Giulietta Riboldi

8. Attività di Tutor:**Tutor** di studenti nel corso di Dottorato in Medicina Molecolare

Alice Valmadre (2014-2017).
Stefano Pianta (2016-2017)
Paola Rinchetti (2016-oggi)
Fabio Biella (2017-oggi)

Tutor di studenti nel corso di Dottorato in Medicina Traslazionale (n=3)

Margherita Bersani (2018-oggi)

Irene Faravelli (2019-oggi)

Elisa Pagliari (2019-oggi)

Co-Tutor di studenti nel corso di Dottorato in Medicina Molecolare

Agnese Ramirez (2014-2017)

Monica Bucchia (2013-2016)

Rizzo Federica (2011-2015)

Chiara Simone (2008-2011)

Marianna Falcone (2008-2011)

Monica Nizzardo (2007-2010)

Tutor di studenti nel corso MD/PhD

Silvia Tamanini (2014-2018)

Martina Perego (2016-2018)

Maria Sara Cipolat (2014-2015)

Giacomo Monzio Compagnoni (2014-2015)

Elena Abati (2015-2016)

Tutor di studenti Laurea in Medicina e Chirurgia (solo attuali studenti):

Andrea Restivo

Tutor Laurea triennale biotecnologie

Giulia Vardanega corso di laurea triennale biotecnologie UNIMIB (2018)

Co-Tutor di specializzandi nella Scuola di Specializzazione in Neurologia

Federica Locatelli (2001-2006)

Dimitra Papadimitriou (2002-2007)

Michela Guglieri (2002-2007)

Francesca Magri (2003-2008)

Roberta Virglio (2004-2009)

Domenico Santoro (2005-2010)

Giulietta Riboldi (2010-present)

Alessandra Govoni (2009-present)

Michela Ranieri (2008-present)

Simona Braikovic (2013-present)

Roberta Brusa (2014-2018)

Eleonora Mauri (2015-2019)

Delia Gagliardi (2016-present)

Elena Abati (2017-oggi)

Gianluca Costamagna (2018-oggi)

Tutor di specializzandi nella Scuola di Specializzazione in Neurologia

Irene Faravelli (2014-present)

Tutor di specializzandi nella Scuola di Specializzazione in Genetica Medica

Benedetta Del Menico (2014-2015)

Co-Advisor PhD thesis Stefan Reber University of Bern

9. Attività Seminariale:

2006-oggi Docente in seminari di Neurologia presso il Dipartimento di Scienze Neurologiche e, successivamente, il Dipartimento di Fisiopatologia Medica e Chirurgica e dei Trapianti, Università Degli Studi di Milano

10. Attività' di Esercitazioni Pratiche

2006-oggi Attività' di Esercitazioni Pratiche in corsia per studenti di Medicina e Chirurgia e Specializzandi nelle professioni mediche in particolare in Neurologia.

2006-oggi Attività' di Esercitazioni Pratiche in corsia per studenti di Medicina e Chirurgia e Specializzandi nelle professioni mediche in particolare in Neurologia.

ATTIVITÀ ASSISTENZIALE

- 1994-1997 Attività clinica di reparto e ambulatoriale in qualità di studente interno, e successivamente come medico frequentatore presso il Dipartimento di Scienze Neurologiche, Università degli Studi di Milano
- 1998 Abilitazione all'esercizio della professione di Medico Chirurgo nel maggio 1998, Iscrizione all'Ordine Provinciale di Milano dei Medici-Chirurghi e degli Odontoiatri (iscritta dal 22.06.1998 al n.35484)
- 1998-2003 Medico Specializzando in Neurologia presso il Dipartimento di Scienze Neurologiche, Università degli Studi di Milano
- 2003-2006 Attività clinica come neurologo frequentatore presso il Dipartimento di Scienze Neurologiche, Università degli Studi di Milano, svolgendo attività assistenziali di sala. Ha inoltre svolto durante questi anni attività Clinica Ambulatoriale presso l'ambulatorio del "Centro Dino Ferrari", IRCCS Fondazione Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico per le patologie neuromuscolari e neurodegenerative e presso l'ambulatorio delle malattie del motoneurone
- 2006-ad oggi Attivata convenzione per le funzioni assistenziali come **assistente medico neurologo** presso l' U. O. Neurologia (Dipartimento di Scienze Neurologiche) della IRCCS Fondazione Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico.
 Presso l'UO svolge **attività cliniche assistenziali** di:
 -neurologia generale di reparto (co-responsabile in media di 7 letti degenza)
 -servizio di Day Hospital
 -attività ambulatoriale: attività in ambulatorio di Neurologia Generale
 --attività clinico-assistenziale neurologica d'urgenza: turni di guardia interdivisionale neurologica/neurochirurgica e di PS generale, pediatrico e ginecologico.
 -Attività assistenziale presso l'UOS di Neurologia Pediatrica
 -In diverse occasioni le è stata affidata la responsabilità dell'attività clinico-assistenziale della UOC di Neurologia come "facente funzioni" del primario.
- 2006-ad oggi **attività assistenziale in ambito neurologico di II livello nell' ambulatorio del Centro Dino Ferrari (CDF) per le malattie neuromuscolari.** All'ambulatorio afferiscono pazienti affetti da malattie neuromuscolari in particolare distrofie muscolari, miopatie congenite, miopatie metaboliche e mitocondriali, neuropatie periferiche. L'attività è volta alla presa in carico del paziente dal punto di vista diagnostico, di follow-up, di counselling e terapeutico. Oltre all'attività clinica in senso stretto è svolta un'attività di ricerca sugli aspetti eziopatogenetici, le correlazioni genotipo fenotipo (con la costituzione di ampio database clinico e collezionamento di campioni biologici all'interno della Biobanca), e lo sviluppo di nuovi approcci terapeutici per le suddette malattie.
- 2006-ad oggi: **Co-Responsabile** del "Centro per le **Malattie del Motoneurone**, Servizio Ambulatoriale", IRCCS "Fondazione Ca'Granda, Ospedale Maggiore Policlinico. Tale centro oltre all'attività assistenziale nel settore, ha svolto una consistente attività di ricerca

Paola Corti

sui meccanismi patogenetici della malattia. In questi anni il Centro ha sviluppato un ampio database contenente dati clinici di pazienti affetti da malattia del motoneurone (genetica e sporadica) e ha contribuito alla raccolta di un'ampia collezione di campioni biologici (sangue, fibroblasti etc) di questi pazienti (con appropriata approvazione comitato etico). In questi anni la Dott.ssa Corti ha contribuito allo studio dei meccanismi molecolari della malattia del motoneurone, studiando il ruolo funzionale di TDP43, FUS e C9ORF72.

2006-oggi: **medico prescrittore Malattie Rare:** malattie del motoneurone e neuromuscolari

2006 ad oggi. **Svolge inoltre attività di supervisione e refertazione dell'attività di diagnostica biochimica e biomolecolare del Laboratorio di Biochimica e Genetica, UNIMI.** Tali indagini di biologia molecolare, a fini diagnostici, includono l'analisi di sequenza dei geni associati alla Sclerosi Laterale Amiotrofica Familiare (ALS1, ALS9, ALS8, ALS10), altre malattie del motoneurone (SMA, SMARD1, DSMAV) e neuropatie ereditarie (CMT2A2, CMT2D, CMT2B1, CMT4A), malattie neurodegenerative (malattie prioniche ereditarie, frontotemporal dementia (VCP, PGRN, CHMP2B), Parkinson familiare (PARK1, PARK2, PARK6, PARK7, PARK8), analisi di delezione del gene della distrofina eseguita tramite metodiche di Multiplex PCR e Southern Blot per le Distrofie Muscolari di Duchenne e Becker, analisi di mutazioni puntiformi nel gene della distrofina mediante sequenziamento diretto, Distrofie Muscolari dei Cingoli Autosomiche Recessive e Dominanti (Tipo 1A, 1B, 1C e tipo 2 da A a G, 2I, 2K, 2M), Distrofie Miotoniche (DM1 e DM2) e canalopatie, miopatie metaboliche (CPTII e glicogenosi), analisi genetica delle Encefalomiopatie mitocondriali associate a mutazioni del DNA mitocondriale (mtDNA) o a geni nucleari codificanti per proteine mitocondriali (PEOA1-A4 e sindromi da deplezione del mtDNA). L'attività diagnostica include inoltre determinazioni biochimiche (analisi del metabolismo glicidico, analisi del metabolismo mitocondriale, analisi del metabolismo lipidico) e di determinazione proteica con metodica western blot di proteine muscolari.

ATTIVITÀ ORGANIZZATIVA

All'interno del Dipartimento di Scienze Neurologiche si è occupata attivamente dell'organizzazione di attività di scambio culturale, organizzando Seminari e Journal Club intradipartimentali.

-2014 Organizzazione 1°Convegno Monotematico MITOFUSINA 2: NEUROPATIE E FUSIONE MITOCONDRIALE

-2018 Congresso AIM partecipazione a Comitato organizzatore

-2018 Organizzazione workshop internazionale Clinical Neurosciences: from bench to bedside", UNIMI

-2019 organizzazione E-rare meetig UNIMI

-2019 organizzazione CROSS NEUROD Mid-term meeting UNIMI

-2019 seminario Prof. Hynek Wicterle UNIMI

PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE

I risultati della ricerca della Prof. Corti sono stati oggetto di pubblicazioni in riviste scientifiche internazionali e nazionali.

Nel corso di questi anni e' stata autrice di **525** pubblicazioni (H index secondo Scopus: **45**) di interesse neurologico, comprensive di:

- **185** lavori originali pubblicati su riviste internazionali e recensite dal Current Contents
- 3 lavori originali pubblicati su riviste Nazionali
- 3 lavori originali pubblicati su riviste non recensite
- 214 abstract di comunicazioni a congressi neurologici internazionali
- 115 abstract di comunicazioni a congressi neurologici nazionali
- 5 capitoli di libri

ELENCO DELLE PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE

Lavori originali su riviste recensite da "Current Contents"

1. D'Angelo MG, Ausenda CD, Torrente Y, Bordoni A, **Corti S.**, Perini MP, Colucci M, Comi GP, Bresolin N, Scarlato G. 5' Azacytidine enhances exogenous gene expression in skeletal muscle *Basic and Applied Myology* (now: *European Journal of Translational Myology*). 9 (1):5-10, 1999
2. Torrente Y., D'Angelo M.G., Del Bo R., DeLiso A., Casati R., Benti R., **Corti S.**, Comi G.P., Gerundini P., Anichini A., Scarlato G., Bresolin N. Extracorporeal circulation as a new experimental pathway for myoblast implantation in mdx mice. *Cell Transplantation*, Vol. 8, pp. 247-258, 1999.
3. Torrente Y., D'Angelo M.G., Li Z., Del Bo R., **Corti S.**, Mericskay M., DeLiso A., Fassati A., Paulin D., Comi G.P., Scarlato G., Bresolin N. Transplacental injection of somite-derived cells in mdx mouse embryos for the correction of dystrophin deficiency. *Human Molecular Genetics*, Vol. 9 (12), pp. 1843-1852, 2000.
4. Del Bo R., Torrente Y., **Corti S.**, D'Angelo M.G, Comi G.P., Fagiolari G., Salani S., Cova A., Pisati F., Moggio M., Ausenda C., Scarlato G., Bresolin N. In vitro and in vivo tetracycline-controlled myogenic conversion of NIH-3T3 cells: evidence of programmed cell death after muscle cell transplantation. *Cell Transplantation*, 10: 209-221, 2001.
5. **Corti S.**, Salani S., Del Bo R. Torrente Y, Strazzer S., Belicchi M., Paganoni S., Li Z., Comi G.P., Bresolin N., Paulin D., Scarlato G. T-antigen regulated expression reduces apoptosis of Tag transformed myoblasts. *Cellular and Molecular Life Science*, 58:135-140, 2001.
6. Sironi M., **Corti S.**, Locatelli F., Cagliani R., Comi G.P. A novel splice site mutation in the dystrophin gene determining total exon skipping and DMD phenotype. *Human Mutation*, 17 (3): 239, 2001.
7. Colombo F.R., Torrente Y., Casati R., Benti R., **Corti S.**, Salani S., D'Angelo M.G., DeLiso A., Scarlato G., Bresolin N., Gerundini P. Biodistribution studies of 99mTc-labeled myoblasts in a murine model of muscular dystrophy. *Nuclear Medicine and Biology*, 28(8):935-40, 2001.

Paola Corti

8. **Corti S.**, Salani S., Del Bo R., Sironi M., Strazzer S., D'Angelo M.G., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G. Chemotactic factors enhance myogenic cells migration across an endothelial monolayer. *Experimental Cell Research*, 268: 36-44, 2001.
9. **Corti S.**, Strazzer S., Del Bo R., Salani S., Bossolasco P., Fortunato F., Locatelli F., Soligo D., Moggio M., Ciscato P., Prella A., Bresolin N., Scarlato N., Comi G.P. A subpopulation of murine bone marrow cells fully differentiates along the myogenic pathway and participates in muscle repair in the mdx dystrophic mouse. *Experimental Cell Research*, 277:74-85, 2002.
10. **Corti S.**, Locatelli F., Strazzer S., Salani S., Del Bo R., Soligo D., Bossolasco P., Bresolin N., Scarlato N., Comi G.P. Modulated generation of neuronal cells from bone marrow by expansion and mobilization of circulating stem cells with in vivo cytokine treatment. *Experimental Neurology*, 177: 443-52, 2002.
11. **Corti S.**, Locatelli F., Donadoni C., Strazzer S., Salani S., Del Bo R., Caccialanza M., Bresolin N., Scarlato N., Comi G.P. Neuroectodermal and microglial differentiation of bone marrow cells in the mouse spinal cord and sensory ganglia. *Journal of Neuroscience Research*, 70:721-33, 2002.
12. **Corti S.**, Locatelli F., Strazzer S., Guglieri M., Comi G.P. Neuronal generation from somatic stem cells: current knowledge and perspectives on the treatment of acquired and degenerative central nervous system disorders. *Current Gene Therapy*, Jun;3(3):247-72; 2003.
13. Cagliani R., Bresolin N., Prella A., Gallanti A., Fortunato F., Sironi M., Ciscato P., Fagiolari G., Bonato S., Galbiati S., **Corti S.**, Lamperti C., Moggio M., Comi G.P. A CAV3 microdeletion differentially affects skeletal muscle and myocardium. *Neurology*, 61: 1513-1517, 2003.
14. Locatelli F., **Corti S.**, Donadoni C., Guglieri M., Capra F., Strazzer S., Salani S., Del Bo R., Fortunato F., Bordoni A., Comi G.P. Neuronal Differentiation of Murine Bone Marrow Ty-1- and Sca-1-Positive Cells. *Journal of Hematotherapy and Stem Cell Research* (now: Stem Cells and Development), 12(6):727-34; 2003.
15. Fabbro F., Tavano A., **Corti S.**, Bresolin N., De Fabritiis P., Borgatti R. Long-term neuropsychological deficits after cerebellar infarctions in two young adult twins. *Neuropsychologia*, 42(4):536-45; 2004.
16. Bossolasco P.*, **Corti S.***, Strazzer S., Borsotti C., Del Bo R., Fortunato F., Salani S., Quirici N., Bertolini F., Gobbi A., Deliliers G.L., Comi G.P., Soligo D. Skeletal muscle differentiation potential of human adult bone marrow cells, *Experimental Cell Research*, 15;295(1):66-78, 2004 * These authors contributed equally to the work.

Paola Corti

17. Salani S., Lucchiari S., Fortunato F., Crimi M., **Corti S.**, Locatelli F., Bossolasco P., Bresolin N., Comi G.P. Developmental and tissue-specific regulation of a novel dysferlin isoform. *Muscle & Nerve*, 30(3):366-74, 2004.
18. Donadoni C., **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D., Guglieri M., Strazzer S., Bossolasco P., Salani S., Comi G.P. Improvement of Combined FISH and Immunofluorescence to Trace the Fate of Somatic Stem Cells after Transplantation. *Journal of Histochemistry and Cytochemistry*, 2004 Oct;52(10):1333-9.
19. **Corti S.**, Locatelli F, Papadimitriou D, Strazzer S, Comi GP. Somatic stem cell research for neural repair: current evidence and emerging perspectives. *Journal of Cellular Molecular Medicine*, 2004 Jul-Sep;8(3):329-37.
20. **Corti S.**, Locatelli F, Donadoni C, Guglieri M., Papadimitriou D, Strazzer S, Del Bo R., Comi GP. Wild-Type Bone Marrow Cells Ameliorate Phenotype of SOD1-G93A ALS mice and Contribute to CNS, Heart and Skeletal Muscle Tissues. *Brain*, 2004 Nov;127(Pt 11):2518-32.
21. **Corti S.**, Locatelli F, Papadimitriou D, Strazzer S, Bonato S, Comi GP. Nuclear reprogramming and adult stem cell potential. *Histology and Histopathology*, 2005 Jul;20(3):977-86.
22. **Corti S.**, Locatelli F, Papadimitriou D, Donadoni C, Del Bo R, Fortunato F, Strazzer S, Salani S, Bresolin N, Comi GP. Multipotentiality, homing properties, and pyramidal neurogenesis of CNS-derived LeX(ssea-1)+/CXCR4+ stem cells. *FASEB Journal*, 2005 Nov;19(13):1860-2. Epub 2005 Sep 8.
23. **Corti S.**, Locatelli F, Papadimitriou D, Donadoni C, Salani S, Del Bo R, Strazzer S, Bresolin N, Comi GP. Identification of a primitive brain-derived neural stem cell population based on aldehyde dehydrogenase activity. *Stem Cells*, 2006 Apr;24(4):975-85.
24. **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D., Donadoni C., Del Bo R., Crimi M., Bordoni A., Fortunato F., Strazzer S., Menozzi G., Salani S., Bresolin N., Comi G.P. Transplanted ALDHhiSSClo Neural Stem Cells Generate Motor Neurons and Delay Disease Progression of nmd Mice, an Animal Model of SMARD1. *Human Molecular Genetics*, 2006 Jan 15;15(2):167-87.
25. Del Bo R., Locatelli F., **Corti S.**, Scarlato M., Ghezzi S., Prella A., Fagiolari G., Moggio M., Carpo M., Bresolin N., Comi G.P. Coexistence of CMT-2D and distal SMA-V phenotype in an Italian family with a GARS gene mutation”, *Neurology*, 2006 Mar 14;66(5):752-4.

Paola Corti

26. Del Bo R., Scarlato M., Ghezzi S., Martinelli-Boneschi F., **Corti S.**, Locatelli F., Santoro D., Prella A., Briani C., Nardini M., Siciliano G., Mancuso M., Murri L., Bresolin N., Comi G.P. Absence of angiogenic genes modification in Italian ALS patients. *Neurobiology of Aging*, 2008 Feb;29(2):314-6. Epub 2006 Nov 17.
27. **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D, Del Bo R., Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Fortunato F., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P. Neural stem cells LewisX+CXCR4+ modify disease progression in an Amyotrophic Lateral Sclerosis model. *Brain*, 2007 May;130(Pt 5):1289-305. Epub 2007 Apr 17.
28. **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Locatelli F., Papadimitriou D., Salani S., Del Bo R., Grezzi S., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P. Isolation and characterization of murine neural stem/progenitor cells based on Prominin-1 expression. *Experimental Neurology*, 2007 Jun;205(2):547-62. Epub 2007 Mar 28.
29. 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 G.P. Fas small interfering RNA reduces motoneuron death in amyotrophic lateral sclerosis mice. *Annals of Neurology*, 2007 Jul;62(1):81-92. * These authors contributed equally to the work.
30. Del Bo R., Di Fonzo A., Ghezzi S., Locatelli F., Stevanin G., Costa A., **Corti S.**, Bresolin N., Comi G.P. SPG11: a consistent clinical phenotype in a family with homozygous Spatacsin truncating mutation. *Neurogenetics*, 2007 Nov;8(4):301-5. Epub 2007 Aug 24.
31. Ghezzi S., Del Bo R., Scarlato M., Nardini M., Carlesi C., Prella A., **Corti S.**, Mancuso M., Briani C., Siciliano G., Murri L., Bresolin N., Comi G.P. Is erythropoietin gene a modifier factor in amyotrophic lateral sclerosis? *Neurobiology of Aging*, 2009 May;30(5):842-4. Epub 2007 Sep 20.
32. Bersano A., Del Bo R., Lamperti C., Ghezzi S., Fagiolari G., Fortunato F., Ballabio E., Moggio M., Candelise L., Galimberti D., Virgilio R., Lanfranconi S., Torrente Y., Carpo M., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.** Inclusion body myopathy and frontotemporal dementia caused by a novel VCP mutation. *Neurobiology of Aging*, 2009 May;30(5):752-8. Epub 2007 Sep 24
33. **Corti S.**, Bordoni A., Ronchi D., Musumeci O., Aguenouz M., Toscano A., Lamperti C., Bresolin N., Comi G.P. Clinical features and new molecular findings in Carnitine Palmitoyltransferase II (CPT II) deficiency. *Journal of the Neurological Sciences*, 2008 Mar 15;266(1-2):97-103.

Paola Corti

34. Lucchiari S, Pagliarani S, **Corti S**, Mancinelli E, Servida M, Fruguglietti E, Sansone V, Moggio M, Bresolin N, Comi GP, Meola G. Colocalization of ribonuclear inclusions with muscle blind like-proteins in a family with myotonic dystrophy type 2 associated with a short CCTG expansion. *Journal of the Neurological Sciences*, 2008 Dec 15;275(1-2):159-63.
35. Del Bo R, Ghezzi S, **Corti S**, Santoro D, Prella A, Mancuso M, Siciliano G, Briani C, Murri L, Bresolin N, Comi GP. DPP6 gene variability confers increased risk of developing sporadic amyotrophic lateral sclerosis in Italian patients. *Journal of Neurology Neurosurgery and Psychiatry*, 2008 Sep;79(9):1085.
36. **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. *Journal of Clinical Investigation*, 2008 Oct 1;118(10):3316-3330.
37. **Corti S.**, Donadoni C, Ronchi D, Bordoni A, Fortunato F, Santoro D, Del Bo R, Lucchini V, Crugnola V, Papadimitriou D., Salani S., Moggio M., Bresolin N., Comi GP. Amyotrophic Lateral Sclerosis linked to a novel SOD1 mutation with Muscle Mitochondrial Dysfunction. *Journal of the Neurological Sciences*, 2009 Jan 15;276(1-2):170-4.
38. Virgilio R., **Corti S.**, Agazzi P., Santoro D., Lanfranconi S., Candelise L., Bresolin N., Comi G.P., Bersano A. Effect of steroid treatment in cerebellar ataxia associated with anti-GAD antibodies. *Journal of Neurology Neurosurgery and Psychiatry*, 2009 Jan;80(1):95-6.
39. Del Bo R., Moggio M., Rango M., Bonato S., D'Angelo M.G., Ghezzi S., Airoidi G., Bassi M.T., Guglieri M., Napoli L., Lamperti C., **Corti S.**, Federico A., Bresolin N., Comi G.P., Mutated mitofusin 2 presents with intrafamilial variability and brain mitochondrial dysfunction. *Neurology*, 2008 Dec 9;71(24):1959-66.
40. Locatelli F., Bersano A., Ballabio E., Lanfranconi S., Papadimitriou D., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.** Stem cell therapy in stroke. *Cellular and Molecular Life Sciences*, 2009 Mar;66(5):757-72.
41. Del Bo R., Ghezzi S., **Corti S.**, Pandolfo M., Ranieri M., Santoro D., Mancuso M., Sorarù G., Briani C., Angelini C., Bresolin N., Comi G. TARDBP (TDP-43) sequence analysis in patients with familial and sporadic ALS: identification of two novel mutations. *European Journal of Neurology*, 2009 Jun;16(6):727-32.

Paola Corti

42. Tonelli A., Lanfranconi S., Bersano A., **Corti S.**, Bassi M.T., Bresolin N. Aberrant splicing due to a silent nucleotide change in CCM2 gene in a family with cerebral cavernous malformation. *Clinical genetics*, 2009 May;75(5):494-7.
43. Virglio R., Ronchi D., Fassone E., Bonato S., Donadoni C., Torgano G., Moggio M., **Corti S.**, Bresolin N., Comi G.P. Mitochondrial DNA G8363A mutation in the tRNALys gene: clinical, biochemical and pathological study. *Journal of the Neurological Sciences*, 2009 Jun 15;281(1-2):85-92.
44. 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. *American Journal of Human Genetics*, 2009 May;84(5):594-604.
45. Bersano A, Ballabio E, Lanfranconi S, Boncoraglio GB, **Corti S**, Locatelli F, Baron P, Bresolin N, Parati E, Candelise L. Clinical Studies in Stem Cells Transplantation for Stroke: A Review. *Current Vascular Pharmacology*, 2010 Jan;8(1):29-34.
46. Lanfranconi S, **Corti S**, Bersano A, Costa A, Prella A, Sciacco M, Bresolin N, Ghione I. Aphasic and visual aura with increased vasogenic leakage: an atypical migrainosus status. *Journal of the Neurological Sciences*, 2009 Oct 15;285(1-2):227-9.
47. Del Bo R, **Corti S**, Santoro D, Ghione I, Fenoglio C, Ghezzi S, Ranieri M, Galimberti D, Mancuso M, Siciliano G, Briani C, Murri L, Scarpini E, Schymick JC, Traynor BJ, Bresolin N, Comi GP. No major progranulin genetic variability contribution to disease etiopathogenesis in an ALS Italian cohort. *Neurobiology of Aging*, 2011 Jun;32(6):1157-8. doi: 10.1016/j.neurobiolaging.2009.06.006. Epub 2009 Jul 25.
48. Coppede F, Migheli F, Lo Gerfo A, Fabbri MR, Carlesi C, Mancuso M, **Corti S**, Mezzina N, Del Bo R, Comi GP, Siciliano G, Migliore L. Association study between XRCC1 gene polymorphisms and sporadic amyotrophic lateral sclerosis. *Amyotrophic Lateral Sclerosis*, 2010;11(1-2):122-4.
49. Lanfranconi S, Locatelli F, **Corti S**, Candelise L, Comi GP, Baron P, Strazzer S, Bresolin N, Bersano A. Growth factors in ischemic stroke. *Journal of Cellular Molecular Medicine*, 2011 Aug;15(8):1645-87. doi: 10.1111/j.1582-4934.2009.00987.x. Epub 2009 Dec 8.
50. Crugnola V, Lamperti C, Lucchini V, Ronchi D, Peverelli L, Prella A, Sciacco M, Bordoni A, Fassone E, Fortunato F, **Corti S**, Silani V, Bresolin N, Di Mauro S, Comi GP, Moggio M.

Mitochondrial respiratory chain dysfunction in muscle from patients with Amyotrophic Lateral Sclerosis. *Archives of Neurology*, 2010, Jul;67(7):849-54.

51. Zago S., **Corti S.**, Bersano A., Baron P., Conti G., Ballabio E., Lanfranconi S., Cinnante C., Costa A., Cappellari A., and Bresolin N. A Cortically Blind Patient With Preserved Visual Imagery. *Cognitive and Behavioral Neurology*, 2010 Mar;23(1):44-8.
52. Ronchi D., Virgilio R., Bordoni A., Fassone E., Sciacco M., Ciscato P., Moggio M., Govoni A., **Corti S.**, Bresolin N., Comi G.P. The m.12316G>A mutation in the mitochondrial tRNA^{Leu}(CUN) gene is associated with mitochondrial myopathy and respiratory impairment. *Journal of the Neurological Sciences*, May 15;292(1-2):107-10.
53. Ricci C., Fermo E., **Corti S.**, Molteni M., Faricciotti A., Cortelezzi A., Lambertenghi Deliliers G., Beran M., Onida F. RAS mutations contribute to evolution of chronic myelomonocytic leukemia to the proliferative variant. *Clinical Cancer Research*, 2010 Apr 15;16(8):2246-56.
54. **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 *Journal of Neuroscience*, 2009 Sep 23; 29(38):11761-71.
55. **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 Feb;133(Pt 2):465-81.
56. **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. *Human Molecular Genetics*. 2010 Oct 1;19(19):3782-96.
57. 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. *Cellular Molecular Life Sciences* 2010 Nov;67(22):3837-47. Epub 2010 Jul 29.
58. Cagliani R, Fruguglietti ME, Berardinelli A, D'Angelo MG, Prella A, Riva S, Napoli L, Gorni K, Orcesi S, Lamperti C, Pichiecchio A, Signaroldi E, Tupler R, Magri F, Govoni A, **Corti S.**, Bresolin N, Moggio M, Comi GP. New molecular findings in congenital myopathies due to selenoprotein N gene mutations. *Journal of the Neurological Sciences*. 2011 Jan 15;300(1-2):107-13.

59. Mencacci NE, Bersano A, Cinnante CM, Ciammola A, **Corti S**, Meroni PL, Silani V. Intracerebral haemorrhage, a possible presentation in Churg-Strauss syndrome: case report and review of the literature. *Journal of the Neurological Sciences*. 2011 Feb 15;301(1-2):107-11.
60. Nizzardo M, Nardini M, Ronchi D, Salani S, Donadoni C, Fortunato F, Colciago G, Falcone M., Simone C, Riboldi G, Govoni A, Bresolin N, Giacomo P. Comi, and **Corti S**. Beta-lactam antibiotic offer neuroprotection in a spinal muscular atrophy mouse model by multiple mechanisms, *Experimental Neurology* 2011 229: 214-225.
61. 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. *Progress in Neurobiology* 2011 Oct;95(2):133-48.
62. Magri F, Govoni A, D'Angelo MG, Del Bo R, Ghezzi S, Sandra G, Turconi AC, Sciacco M, Ciscato P, Bordoni A, Tedeschi S, Fortunato F, Lucchini V, Bonato S, Lamperti C, Coviello D, Torrente Y, **Corti S**, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. Genotype and phenotype characterization in a large dystrophinopathic cohort with extended follow-up. *Journal of Neurology* 2011 258 (9):1610-23.
63. Magri F, Del Bo R, D'Angelo MG, Govoni A, Ghezzi S, Gandossini S, Sciacco M, Ciscato P, Bordoni A, Tedeschi S, Fortunato F, Lucchini V, Cereda M, **Corti S**, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. Clinical and molecular characterization of a cohort of patients with novel nucleotide alterations of the Dystrophin gene detected by direct sequencing. *BMC Medical Genetics*. 2011 Mar 11;12:37.
64. Riboldi G., Del Bo R., Ranieri M., Magri F., Sciacco M., Moggio M., **Corti S.**, Comi G.P. Tyr78Phe transthyretin mutation with motor-predominant neuropathy as the initial presentation *Case Reports in Neurology* 2011 Feb 23;3(1):62-8.
65. Del Bo R., Tiloca C., Pensato V., Corrado L., Ratti A., Ticozzi N., **Corti S.**, Castellotti B., Mazzini L., Sorarù G., Cereda C., D'Alfonso S., Gellera C., Comi G.P., Silani V. Novel optineurin mutations in patients with familial and sporadic amyotrophic lateral sclerosis, *Journal of Neurology, Neurosurgery & Psychiatry* 2011 Nov;82(11):1239-1243.
66. Ronchi D, Bordoni A, Cosi A, Rizzuti M, Fassone E, Di Fonzo A, Servida M, Sciacco M, Collotta M, Ronzoni M, Lucchini V, Mattioli M, Moggio M, Bresolin N, **Corti S**, Comi GP. Unusual adult-onset Leigh syndrome presentation due to the mitochondrial m.9176T>C mutation. *Biochemical and Biophysical Research Communications* 2011 Aug 26;412(2):245-8.

Paola Corti

67. Lanfranconi S, **Corti S**, Baron P, Conti G, Borellini L, Bresolin N, Bersano A. Anti-MuSK-Positive Myasthenia Gravis in a Patient with Parkinsonism and Cognitive Impairment. *Neurology Research International* 2011;2011:859802.
68. Ronchi D, Fassone E, Bordoni A, Sciacco M, Lucchini V, Di Fonzo A, Rizzuti M, Colombo I, Napoli L, Ciscato P, Moggio M, Cosi A, Collotta M, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP. Two novel mutations in PEO1 (Twinkle) gene associated with chronic external ophthalmoplegia. *Journal of the Neurological Sciences* 2011 Sep 15;308(1-2):173-6.
69. Willmann R, Dubach J, Chen K; TREAT-NMD Neuromuscular Network (including **Corti S**). Developing standard procedures for pre-clinical efficacy studies in mouse models of spinal muscular atrophy: report of the expert workshop "Pre-clinical testing for SMA", Zürich, March 29-30th 2010. *Neuromuscular Disorders*. 2011 Jan;21(1):74-7.
70. Ronchi D, Sciacco M, Bordoni A, Raimondi M, Ripolone M, Fassone E, Di Fonzo A, Rizzuti M, Ciscato P, Cosi A, Servida M, Moggio M, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP. The novel mitochondrial tRNA(Asn) gene mutation m.5709T>C produces ophthalmoparesis and respiratory impairment. *European Journal of Human Genetics*, 2012 Mar;20(3):357-60.
71. 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. *Cellular and Molecular Life Sciences* 2012 May;69(10):1641-50.
72. Salani S, Donadoni C, Rizzo F, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Generation of skeletal muscle cells from embryonic and induced pluripotent stem cells as an in vitro model and for therapy of muscular dystrophies. *Journal of Cellular and Molecular Medicine* 2012 Jul;16(7):1353-64.
73. Ranieri M, Del Bo R, Bordoni A, Ronchi D, Colombo I, Riboldi G, Cosi A, Servida M, Magri F, Moggio M, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Optic atrophy plus phenotype due to mutations in the OPA1 gene: Two more Italian families. *Journal of the Neurological Sciences* 2012 Apr 15;315(1-2):146-9.
74. **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. *Experimental Cell Research*. 2012 Aug 1;318(13):1528-41.
75. Ulzi G, Lecchi M, Sansone V, Redaelli E, Corti E, Saccomanno D, Pagliarani S, **Corti S**, Magri F, Raimondi M, D'Angelo G, Modoni A, Bresolin N, Meola G, Wanke E, Comi GP, Lucchiari

S. Myotonia congenita: Novel mutations in CLCN1 gene and functional characterizations in Italian patients. *Journal of the Neurological Sciences* Jul 15;318(1-2):65-71.

76. Magri F, Del Bo R, D'Angelo MG, Sciacco M, Gandossini S, Govoni A, Napoli L, Turconi AC, Ciscato P, Bordoni A, Fortunato F, Lucchini V, **Corti S**, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. Frequency and characterization of Anoctamin 5 mutations in Italian Limb Girdle Muscular Dystrophy patients. *Neuromuscular Disorders*, 2012 Nov;22(11):934-43. doi: 10.1016/j.nmd.2012.05.001. Epub 2012 Jun 27.
77. Ratti A, Corrado L, Castellotti B, Del Bo R, Fogh I, Cereda C, Tiloca C, D'Ascenzo C, Bagarotti A, Pensato V, Ranieri M, Gagliardi S, Calini D, Mazzini L, Taroni F, **Corti S**, Ceroni M, Oggioni GD, Lin K, Powell JF, Sorarù G, Ticozzi N, Comi GP, D'Alfonso S, Gellera C, Silani V; SLAGEN Consortium. C9ORF72 repeat expansion in a large Italian ALS cohort: evidence of a founder effect. *Neurobiology of Aging*. 2012 Oct;33(10):2528.e7-2528.e14.
78. Nizzardo M, Simone C, Falcone M, Riboldi G, Magri F, Comi GP, Bresolin N, **Corti S**. Direct reprogramming of adult somatic cells into other lineages: past evidence and future perspectives. *Cell Transplantation*, 2013; 22:921-44.
79. Ronchi D., Garone C., Bordoni A., Gutierrez Rios P., Calvo S., Ripolone M., Ranieri M., Rizzuti M., Villa L., Magri F., **Corti S.**, Bresolin N., Mootha V., Moggio M., Di Mauro S., Comi G., Sciacco M. Next-generation sequencing discloses DGUOK mutations in adult patients with mitochondrial DNA multiple deletions. *Brain*, 2012 Nov;135(Pt 11):3404-15. doi: 10.1093/brain/aws258. Epub 2012 Oct 4.
80. **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. *Science Translational Medicine* 2012 Dec 19;4(165):165ra162. doi: 10.1126/scitranslmed.3004108.
81. Gellera C, Tiloca C, Del Bo R, Corrado L, Pensato V, Agostini J, Cereda C, Ratti A, Castellotti B, **Corti S**, Bagarotti A, Cagnin A, Milani P, Gabelli C, Riboldi G, Mazzini L, Sorarù G, D'Alfonso S, Taroni F, Comi GP, Ticozzi N, Silani V. Ubiquilin 2 mutations in Italian patients with amyotrophic lateral sclerosis and frontotemporal dementia. *Journal of Neurology, Neurosurgery & Psychiatry*. 2013 Feb;84(2):183-7.
82. Tiloca C, Ticozzi N, Pensato V, Corrado L, Del Bo, Bertolin C, Fenoglio C, Gagliardi S, Calini D, Lauria G, Castellotti B, Bagarotti A, **Corti S**, Galimberti D, Cagnin A, Gabelli C, Ranieri M, Ceroni M, Siciliano G, Mazzini L, Cereda C, Scarpini E, Sorarù G, Comi GP, D'Alfonso S,

Paola Corti

Gellera C, Ratti A, Landers JE, Silani V and the SLAGEN Consortium. Screening of the PFN1 gene in sporadic ALS and in FTD. *Neurobiology of Aging*. 2013 May;34(5):1517.e9-10.

83. Cheldi A, Ronchi D, Bordoni A, Bordo B, Lanfranconi S, Bellotti MG, **Corti S**, Lucchini V, Sciacco M, Moggio M, Baron P, Comi GP, Colombo A, Bersano A; Lombardia GENS collaborators. POLG1 mutations and stroke like episodes: a distinct clinical entity rather than an atypical MELAS syndrome. *BMC Neurology*. 2013 Jan 15;13:8. doi: 10.1186/1471-2377-13-8.
84. 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. *Journal of Medical Genetics* 2013 Feb;50(2):104-7. doi: 10.1136/jmedgenet-2012-101204.
85. Ronchi D, Di Fonzo A, Lin W, Bordoni A, Liu C, Fassone E, Pagliarani S, Rizzuti M, Zheng L, Filosto M, Ferrò MT, Ranieri M, Magri F, Peverelli L, Li H, Yuan YC, **Corti S**, Sciacco M, Moggio M, Bresolin N, Shen B, Comi GP. Mutations in DNA2 link progressive myopathy to mitochondrial DNA instability. *American Journal of Human Genetics*. 2013 Feb 7;92(2):293-300.
86. Ranieri M, Brajkovic S, Riboldi G, Ronchi D, Rizzo F, Bresolin N, **Corti S**, Comi GP. Mitochondrial fusion proteins and human diseases. *Neurology Research International* 2013; 2013;2013:293893. doi: 10.1155/2013/293893. Epub 2013 May 27.
87. Brajkovic S, Riboldi G, Govoni A, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP. Growing evidences about relationship between vessel dissection and scuba diving, *Case Reports in Neurology*, 2013 Sep 12;5(3):155-61.
88. Calini D, Corrado L, Del Bo R, Gagliardi S, Pensato V, Verde F, **Corti S**, Mazzini L, Milani P, Castellotti B, Bertolin C, Sorarù G, Cereda C, Comi GP, D'Alfonso S, Gellera C, Ticozzi N, Landers JE, Ratti A, Silani V; SLAGEN Consortium. Analysis of hnRNPA1, A2/B1, and A3 genes in patients with amyotrophic lateral sclerosis. *Neurobiology of Aging*. 2013 Nov;34(11):2695.e11-2.
89. Govoni A, Magri F, Brajkovic S, Zanetta C, Faravelli I, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP. Ongoing therapeutic trials and outcome measures for Duchenne muscular dystrophy. *Cellular Molecular Life Sciences*. 2013 Dec;70(23):4585-602. doi: 10.1007/s00018-013-1396-z. Epub 2013 Jun 18.
90. 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, *Clinical Therapeutics*, 2014 Jan 1;36(1):128-40.

Paola Corti

91. 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. *Human Molecular Genetics*. 2014 Jan 15;23(2):342-54. doi: 10.1093/hmg/ddt425. Epub 2013 Sep 4.
92. Zanetta C, Riboldi G, Nizzardo M, Simone C., Faravelli I, Bresolin N., Comi GP, **Corti S**. Molecular, genetic and stem cells-mediated therapeutic strategies for Spinal Muscular Atrophy (SMA), *Journal of Cellular and Molecular Medicine*, 2014 Feb;18(2):187-96. doi: 10.1111/jcmm.12224. Epub 2014 Jan 8.
93. Ruggieri M., Riboldi G, Brajkovic S, Bucchia M, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Induced neural stem cells: Methods of reprogramming and potential therapeutic applications *Progress in Neurobiology*, 2014 Mar;114:15-24. doi: 10.1016/j.pneurobio.2013.11.001. Epub 2013 Nov 15.
94. Nizzardo M, Simone C, Salani S, Ruepp MD, Rizzo F, Ruggieri M, Zanetta C, Brajkovic S, Moulton HM, Muehlemann O, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Effect of combined systemic and local morpholino treatment on the spinal muscular atrophy $\Delta 7$ mouse model phenotype. *Clinical Therapeutics*. 2014 Mar 1;36(3):340-56.e5. doi: 10.1016/j.clinthera.2014.02.004. PubMed PMID: 24636820.
95. Rizzo F, Riboldi G, Salani S, Nizzardo M, Simone C, **Corti S***, Hedlund E*, Cellular Therapy to Target Neuroinflammation in Amyotrophic Lateral Sclerosis. *Cellular and Molecular Life Sciences*, *equal contributors, 2014 Mar;71(6):999-1015. doi: 10.1007/s00018-013-1480-4. Epub 2013 Oct 8.
96. Fogh I, Ratti A, Gellera C, Lin K, Tiloca C, Moskvina V, Corrado L, Sorarù G, Cereda C, **Corti S**, Gentilini D, Calini D, Castellotti B, Mazzini L, Querin G, Gagliardi S, Del Bo R, Conforti F, Siciliano G, Inghilleri M, Saccà F, Bongioanni P, Penco S, Corbo M, Sorbi S, Filosto M, Ferlini A, Di Blasio A et al. A genome-wide association meta-analysis identifies a novel locus at 17q11.2 associated with sporadic amyotrophic lateral sclerosis, *Human Molecular Genetics*, 2014 Apr 15;23(8):2220-31. doi: 10.1093/hmg/ddt587. Epub 2013 Nov 20.
97. Ulzi G, Sansone VA, Magri F, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP, Lucchiari S. In vitro analysis of splice site mutations in the CLCN1 gene using the minigene assay. *Molecular Biology Reports*. 2014 May;41(5):2865-74. doi: 10.1007/s11033-014-3142-5. Epub 2014 Jan 23.
98. Compagnucci C, **Corti S**, Nizzardo M, Zanni G, Bertini E In vitro neurogenesis: development and functional implications of iPSCs technology. *Cellular Molecular Life Sciences*, 2014 May;71(9):1623-39. doi: 10.1007/s00018-013-1511-1.

Paola Corti

99. Pupillo E, Messina P, Giussani G, Logroscino G, Zoccolella S, Chiò A, Calvo A, Corbo M, Lunetta C, Marin B, Mitchell D, Hardiman O, Rooney J, Stevic Z, Bandettini di Poggio M, Filosto M, Cotelli MS, Perini M, Riva N, Tremolizzo L, Vitelli E, Damiani D, Beghi E; EURALS Consortium (**Corti S**, in the consortium). Physical activity and amyotrophic lateral sclerosis: a European population-based case-control study. *Annals of Neurology*. 2014 May;75(5):708-16. doi: 10.1002/ana.24150. Epub 2014 May 21. PubMed PMID: 24706338.
100. Di Fonzo A, Ronchi D, Gallia F, Cribiù FM, Trezzi I, Vetro A, Della Mina E, Ivan Limongelli, Bellazzi R, Ricca I, Micieli G, Fassone E, Rizzuti M, Bordoni A, Fortunato F, Salani S, Mora G, **Corti S**, Ceroni M, Bosari S, Zuffardi O, Bresolin N, Nobile-Orazio E, and Comi GP. Lower motor neuron disease with respiratory failure caused by a novel MAPT mutation. *Neurology*. 2014 Jun 3;82(22):1990-8. doi: 10.1212/WNL.0000000000000476. Epub 2014 May 7.
101. Faravelli I, Bucchia 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 Research & Therapy* 2014 Jul 14;5(4):87. doi: 10.1186/scrt476.
102. Lanfranconi S, Ronchi D, Ahmed N., Civelli V, Basilico P, Bresolin N, Comi GP and **Corti S**. A novel CCM1 mutation associated with multiple cerebral and vertebral cavernous malformations; *BMC Neurology* 2014, 14:158 Published: 3 August 2014; doi:10.1186/s12883-014-0158-3; PMID: 25086949.
103. Simone C, Nizzardo M, Rizzo F, Ruggieri M, Riboldi G, Salani S, Bucchia 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*, Volume 3, Issue 2, 12 August 2014, Pages 297–311. DOI: 10.1016/j.stemcr.2014.06.004 (Cell press).
104. 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. *Cellular Molecular Life Sciences*. 2014 Sep;71(17):3257-68. doi: 10.1007/s00018-014-1613-4. Epub 2014 Apr 4.
105. van Doormaal PT, Ticozzi N, Gellera C, Ratti A, Taroni F, Chiò A, Calvo A, Mora G, Restagno G, Traynor BJ, Birve A, Lemmens R, van Es MA, Saris CG, Blauw HM, van Vught PW, Groen EJ, Corrado L, Mazzini L, Del Bo R, **Corti S**, Waibel S, Meyer T, Ludolph AC, Goris A, van Damme P, Robberecht W, Shatunov A, Fogh I, Andersen PM, D'Alfonso S, Hardiman O, Cronin S, Rujescu D, Al-Chalabi A, Landers JE, Silani V, van den Berg LH, Veldink JH. Analysis of the KIFAP3 gene in amyotrophic lateral sclerosis: a multicenter survival study. *Neurobiology of*

Aging. 2014 Oct;35(10):2420.e13-4. doi: 10.1016/j.neurobiolaging.2014.04.014. Epub 2014 Apr 19. PubMed PMID: 24838185.

106. Bushby K, Finkel R, Wong B, Barohn R, Campbell C, Comi GP, Connolly AM, Day JW, Flanigan KM, Goemans N, Jones KJ, Mercuri E, Quinlivan R, Renfroe JB, Russman B, Ryan MM, Tulinius M, Voit T, Moore SA, Sweeney HL, Abresch RT, Coleman KL, Eagle M, Florence J, Gappmaier E, Glanzman AM, Henricson E, Barth J, Elfring GL, Reha A, Spiegel RJ, O'Donnell MW, Peltz SW, McDonald CM; PTC124-GD-007-DMD Study Group (**Corti S** in the Study Group) Ataluren treatment of patients with nonsense mutation dystrophinopathy. *Muscle Nerve*. 2014 Oct;50(4):477-87. doi: 10.1002/mus.24332.
107. Faravelli I, Frattini E, Ramirez A, Stuppia G, Nizzardo M, and **Corti S**: iPSC cells for Modelling and Treatment of Human Diseases, *Journal of Clinical Medicine*, 2014 Oct 17;3(4):1124-45. doi: 10.3390/jcm3041124.
108. Smith BN, Ticozzi N, Fallini C, Gkazi AS, Topp S, Kenna KP, Scotter EL, Kost J, Keagle P, Miller JW, Calini D, Vance C, Danielson EW, Troakes C, Tiloca C, Al-Sarraj S, Lewis EA, King A, Colombrita C, Pensato V, Castellotti B, de Bellerocche J, Baas F, LMA ten Asbroek A, Sapp PC, McKenna-Yasek D, McLaughlin RL, Polak M, Asress S, Esteban-Pérez J, Muñoz-Blanco JL, Simpson M, SLAGEN Consortium, van Rheenen W, Diekstra FP, Lauria G, Duga S, **Corti S**, Cereda C, Corrado L, Sorarù G, Morrison KE, Williams KL, Nicholson GA, Blair IP, Leblond CS, Rouleau GA, Hardiman O, Veldink JH, van den Berg LH, Al-Chalabi A, Pall H, Shaw PJ, Turner MR, Talbot K, Taroni F, García-Redondo A, Wu Z, Glass JD, Gellera C, Ratti A, Brown RH Jr., Silani V, Shaw CE, Landers JE. Exome-Wide Rare Variant Analysis Identifies Mutations Associated with Familial ALS. *Neuron* 2014. Oct 22;84(2):324-31. doi: 10.1016/j.neuron.2014.09.027. Epub 2014 Oct 22.
109. 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. *Biochimica et Biophysica Acta*. 2014 Nov;1842(11):2318-28.
110. 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 Nov 15;346(1-2):35-42. doi: 10.1016/j.jns.2014.09.010. Epub 2014 Sep 16.
111. 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. *Molecular Neurobiology*. 2014 Dec;50(3):721-32. doi: 10.1007/s12035-014-8724-7. Epub 2014 May 9.

112. 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 Jan;64:44-50. doi: 10.1016/j.mcn.2014.12.005.
113. Rizzuti M, Nizzardo M, Zanetta C, Ramirez A, **Corti S**. Therapeutic applications of the cell-penetrating HIV-1 Tat peptide. *Drug Discov Today*. 2015 Jan;20(1):76-85. doi: 10.1016/j.drudis.2014.09.017. Epub 2014 Sep 30.
114. Malaguti MC, Melzi V, Di Giacomo R, Monfrini E, Di Biase E, Franco G, Borellini L, Trezzi I, Monzio Compagnoni G, Fortis P, Feraco P, Orrico D, Cucurachi L, Donner D, Rizzuti M, Ronchi D, Bonato S, Bresolin N, **Corti S**, Comi GP, Di Fonzo A. A novel homozygous PLA2G6 mutation causes dystonia-parkinsonism. *Parkinsonism Relat Disord*. 2015 Mar;21(3):337-9. doi:10.1016/j.parkreldis.2015.01.001. Epub 2015 Jan 10. PubMed PMID: 25601130
115. Bucchia M, Ramirez A, Simone C, Nizzardo M, Magri F, **Corti S**. Therapeutic development in Amyotrophic Lateral Sclerosis, *Clinical Therapeutics*, 2015 Mar 1;37(3):668-80. doi: 10.1016/j.clinthera.2014.12.020. Epub 2015 Feb 7
116. Nizzardo M., Simone C., Rizzo F, Salani S., Dametti S., Rinchetti P., Del Bo R., Foust K, Kaspar BK, 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 Mar 13;1(2):e1500078. eCollection 2015
117. Cirulli ET, Lasseigne BN, Petrovski S, Sapp PC, Dion PA, Leblond CS, Couthouis J, Lu YF, Wang Q, Krueger BJ, Ren Z, Keebler J, Han Y, Levy SE, Boone BE, Wimbish JR, Waite LL, Jones AL, Carulli JP, Day-Williams AG, Staropoli JF, Xin WW, Chesi A, Raphael AR, McKenna-Yasek D, Cady J, Vianney de Jong JM, Kenna KP, Smith BN, Topp S, Miller J, Gkazi A; FALS Sequencing Consortium, Al-Chalabi A, van den Berg LH, Veldink J, Silani V, Ticozzi N, Shaw CE, Baloh RH, Appel S, Simpson E, Lagier-Tourenne C, Pulst SM, Gibson S, Trojanowski JQ, Elman L, McCluskey L, Grossman M, Shneider NA, Chung WK, Ravits JM, Glass JD, Sims KB, Van Deerlin VM, Maniatis T, Hayes SD, Ordureau A, Swarup S, Landers J, Baas F, Allen AS, Bedlack RS, Harper JW, Gitler AD, Rouleau GA, Brown R, Harms MB, Cooper GM, Harris T, Myers RM, Goldstein DB. (**Corti S** in the Study group) Exome sequencing in amyotrophic lateral sclerosis identifies risk genes and pathways. *Science*. 2015 Mar 27;347(6229):1436-41. doi: 10.1126/science.aaa3650. Epub 2015 Feb 19. PubMed PMID: 25700176; PubMed Central PMCID: PMC4437632.
118. 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 Apr 16;291:216-29. doi: 10.1016/j.neuroscience.2015.02.013. Epub 2015 Feb 16. PubMed PMID: 25697826.
119. Pensato V, Tiloca C, Corrado L, Bertolin C, Sardone V, Del Bo R, Calini D, Mandrioli J, Lauria G, Mazzini L, Querin G, Ceroni M, Cantello R, **Corti S**, Castellotti B, Soldà G, Duga S, Comi GP, Cereda C, Sorarù G, D'Alfonso S, Taroni F, Shaw CE, Landers JE, Ticozzi N, Ratti A, Gellera C, Silani V; SLAGEN Consortium. TUBA4A gene analysis in sporadic amyotrophic lateral sclerosis: identification of novel mutations. *J Neurol*. 2015 May;262(5):1376-8. doi: 10.1007/s00415-015-7739-y. Epub 2015 Apr 18. PubMed PMID: 25893256.
120. Ronchi D, Previtali SC, Sora MG, Barera G, Del Menico B, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP. Novel Splice-Site Mutation in SMN1 Associated with a very Severe SMA-I Phenotype. *J Mol Neurosci*. 2015 May;56(1):212-5. doi: 10.1007/s12031-014-0483-4. Epub 2015 Jan 9.
121. Faravelli I, Nizzardo M, Comi GP, **Corti S**. Spinal muscular atrophy-recent therapeutic advances for an old challenge. *Nat Rev Neurol*. 2015 Jun;11(6):351-359. doi: 10.1038/nrneurol.2015.77. Epub 2015 May 19. PubMed PMID: 25986506.
122. Ripolone M, Ronchi D, Violano R, Vallejo D, Fagiolari G, Barca E, Lucchini V, Colombo I, Villa L, Berardinelli A, Balottin U, Morandi L, Mora M, Bordoni A, Fortunato F, **Corti S**, Parisi D, Toscano A, Sciacco M, DiMauro S, Comi GP, Moggio M. Impaired Muscle Mitochondrial Biogenesis and Myogenesis in Spinal Muscular Atrophy. *JAMA Neurol*. 2015 Jun;72(6):666-75. doi: 10.1001/jamaneurol.2015.0178.
123. **Corti S**, Faravelli I, Cardano M, Conti L. Human pluripotent stem cells as tools for neurodegenerative and neurodevelopmental disease modeling and drug discovery. *Expert Opin Drug Discov*. 2015 Jun;10(6):615-29. doi: 10.1517/17460441.2015.1037737. Epub 2015 Apr 20. PubMed PMID: 25891144.
124. 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 Jun 30;5:11746. doi:10.1038/srep11746. PubMed PMID: 26123042; PubMed Central PMCID: PMC4485234.
125. Ronchi D, Riboldi G, Del Bo R, Ticozzi N, Scarlato M, Galimberti D, **Corti S**, Silani V, Bresolin N, Comi GP. CHCHD10 mutations in Italian patients with sporadic amyotrophic lateral sclerosis. *Brain*. 2015 Aug;138(Pt 8):e372. doi: 10.1093/brain/awu384. Epub 2015 Jan 8.

Paola Corti

126. Tafuri F, Ronchi D, Magri F, Comi GP, **Corti S**. SOD1 misplacing and mitochondrial dysfunction in amyotrophic lateral sclerosis pathogenesis. *Front Cell Neurosci*. 2015 Aug 25;9:336. doi: 10.3389/fncel.2015.00336. eCollection 2015. PubMed PMID: 26379505; PubMed Central PMCID: PMC4548205
127. Vanoli F, Rinchetti P, Porro F, Parente V, **Corti S**. Clinical and molecular features and therapeutic perspectives of spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1. *J Cell Mol Med*. 2015 Sep;19(9):2058-66. doi: 10.1111/jcmm.12606. Epub 2015 Jun 20.
128. 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 Sep 15;356(1-2):7-18. doi: 10.1016/j.jns.2015.05.033. Epub 2015 May 29.
129. Magri F, Colombo I, Del Bo R, Previtali S, Brusa R, Ciscato P, Scarlato M, Ronchi D, D'Angelo MG, **Corti S**, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. ISPD mutations account for a small proportion of Italian Limb Girdle Muscular Dystrophy cases. *BMC Neurol*. 2015 Sep 24;15(1):172. doi: 10.1186/s12883-015-0428-8. PubMed PMID: 26404900; PubMed Central PMCID: PMC4582941
130. 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 Feb 16;6:21301. doi: 10.1038/srep21301. PubMed PMID: 26878886; PubMed Central PMCID: PMC4754711.
131. Simone C, Ramirez A, Bucchia M, Rinchetti P, Rideout H, Papadimitriou D, Re DB, **Corti S**. Is spinal muscular atrophy a disease of the motor neurons only: pathogenesis and therapeutic implications? *Cell Mol Life Sci*. 2016 Mar;73(5):1003-20.
132. Cipolat Mis MS, Brajkovic S, Frattini E, Di Fonzo A, **Corti S**. Autophagy in motor neuron disease: Key pathogenetic mechanisms and therapeutic targets. *Mol Cell Neurosci*. 2016 Apr;72:84-90. doi: 10.1016/j.mcn.2016.01.012. Epub 2016 Feb 2
133. 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 May;53(4):2124-31. doi: 10.1007/s12035-015-9181-7. Epub 2015 May 2.
134. 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 May 16;6:25960. doi: 10.1038/srep25960. PubMed PMID: 27180807; PubMed Central PMCID: PMC4867585.

135. Bersano A, Markus HS, Quaglini S, Arbustini E, Lanfranconi S, Micieli G, Boncoraglio GB, Taroni F, Gellera C, Baratta S, Penco S, Mosca L, Grasso M, Carrera P, Ferrari M, Cereda C, Grieco G, **Corti S**, Ronchi D, Teresa Bassi M, Obici L, Parati EA, Pezzini A, De Lodovici ML, Verrengia EP, Bono G, Mazucchelli F, Zarcone D, Calloni MV, Perrone P, Bordo BM, Colombo A, Padovani A, Cavallini A, Beretta S, Ferrarese C, Motto C, Agostoni E, Molini G, Sasanelli F, Corato M, Marcheselli S, Sessa M, Comi G, Checcarelli N, Guidotti M, Uccellini D, Capitani E, Tancredi L, Arnaboldi M, Incorvaia B, Tadeo CS, Fusi L, Grampa G, Merlini G, Trobia N, Comi GP, Braga M, Vitali P, Baron P, Grond-Ginsbach C, Candelise L. Clinical Pre-genetic Screening for Stroke Monogenic Diseases: Results From Lombardia GENS Registry. *Stroke*. 2016 Jul;47(7):1702-9.
136. Piga D, Magri F, Ronchi D, Corti S, Cassandrini D, Mercuri E, Tasca G, Bertini E, Fattori F, Toscano A, Messina S, Moroni I, Mora M, Moggio M, Colombo I, Giugliano T, Pane M, Fiorillo C, D'Amico A, Bruno C, Nigro V, Bresolin N, Comi GP. New Mutations in NEB Gene Discovered by Targeted Next-Generation Sequencing in Nematode Myopathy Italian Patients. *J Mol Neurosci*. 2016 Jul;59(3):351-9.
137. 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 Aug 1;25(15):3152-3163. doi: 10.1093/hmg/ddw163. Epub 2016 Jun 6.
138. Ronchi D, Di Biase E, Franco G, Melzi V, Del Sorbo F, Elia A, Barzaghi C, Garavaglia B, Bergamini C, Fato R, Mora G, Del Bo R, Fortunato F, Borellini L, Trezzi I, Compagnoni GM, Monfrini E, Frattini E, Bonato S, Cogiamanian F, Ardolino G, Priori A, Bresolin N, **Corti S**, Comi GP, Di Fonzo A. Mutational analysis of COQ2 in patients with MSA in Italy. *Neurobiol Aging*. 2016 Jun 7. pii: S0197-4580(16)30091-4. doi: 10.1016/j.neurobiolaging.2016.05.022.
139. Kenna KP, van Doormaal PT, Dekker AM, Ticozzi N, Kenna BJ, Diekstra FP, van Rheenen W, van Eijk KR, Jones AR, Keagle P, Shatunov A, Sproviero W, Smith BN, van Es MA, Topp SD, Kenna A, Miller JW, Fallini C, Tiloca C, McLaughlin RL, Vance C, Troakes C, Colombrita C, Mora G, Calvo A, Verde F, Al-Sarraj S, King A, Calini D, de Belleruche J, Baas F, van der Kooij AJ, de Visser M, Ten Asbroek AL, Sapp PC, McKenna-Yasek D, Polak M, Aress S, Muñoz-Blanco JL, Strom TM, Meitinger T, Morrison KE; SLAGEN Consortium, Lauria G, Williams KL, Leigh PN, Nicholson GA, Blair IP, Leblond CS, Dion PA, Rouleau GA, Pall H, Shaw PJ, Turner MR, Talbot K, Taroni F, Boylan KB, Van Blitterswijk M, Rademakers R, Esteban-Pérez J, García-Redondo A, Van Damme P, Robberecht W, Chio A, Gellera C, Drepper C, Sendtner

Paola Corti

- M, Ratti A, Glass JD, Mora JS, Basak NA, Hardiman O, Ludolph AC, Andersen PM, Weishaupt JH, Brown RH Jr, Al-Chalabi A, Silani V, Shaw CE, van den Berg LH, Veldink JH, Landers JE. (**Corti** in the Study group) NEK1 variants confer susceptibility to amyotrophic lateral sclerosis. *Nat Genet.* 2016 Jul 25. doi: 10.1038/ng.3626.[Epub ahead of print] PubMed PMID: 27455347.
140. van Rheenen W et al, (**Corti** in the Study group). Genome-wide association analyses identify new risk variants and the genetic architecture of amyotrophic lateral sclerosis. *Nat Genet.* 2016 Sep;48(9):1043-8. doi: 10.1038/ng.3622. Epub 2016 Jul 25.
141. 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 Oct 1;25(19):4266-4281
142. Magri F, Nigro V, Angelini C, Mongini T, Mora M, Moroni I, Toscano A, D'Angelo MG, Tomelleri G, Siciliano G, Ricci G, Bruno C, **Corti S**, Musumeci O, Tasca G, Ricci E, Monforte M, Sciacco M, Fiorillo C, Gandossini S, Minetti C, Morandi L, Savarese M, Di Fruscio G, Semplicini C, Pegoraro E, Govoni A, Brusa R, Del Bo R, Ronchi D, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. The Italian LGMD registry: Relative frequency, clinical features, and differential diagnosis. *Muscle Nerve.* 2017 Jan;55(1):55-68. doi: 10.1002/mus.25192.
143. 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 Apr 6;7:46271. doi: 10.1038/srep46271. PubMed PMID: 28382968; PubMed Central PMCID: PMC5382781.
144. Buongarzone G, Monfrini E, Franco G, Trezzi I, Borellini L, Frattini E, Melzi V, Di Caprio AC, Ronchi D, Monzio Compagnoni G, Cogiamanian F, Ardolino G, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**, Di Fonzo A. Mutations in TMEM230 are rare in autosomal dominant Parkinson's disease. *Parkinsonism Relat Disord.* 2017 Mar 9. pii: S1353-8020(17)30088-3.
145. Mis MS, Brajkovic S, Tafuri F, Bresolin N, Comi GP, Corti S. Development of Therapeutics for C9ORF72 ALS/FTD-Related Disorders. *Mol Neurobiol.* 2017 Aug;54(6):4466-4476. doi: 10.1007/s12035-016-9993-0. Epub 2016 Jun 28. PMID: 27349438
146. Ronchi D, Piga D, Lamberti S, Sciacco M, **Corti S**, Moggio M, Bresolin N, Pietro Comi G. Reply: DGUOK recessive mutations in patients with CPEO, mitochondrial myopathy, parkinsonism and mtDNA deletions. *Brain.* 2017 Dec 8. doi:10.1093/brain/awx302. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 29228135.

Paola Corti

147. 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 Jan 6;19(1). pii: E167. doi: 10.3390/ijms19010167. PubMed PMID: 29316633.
148. Magri F, Vanoli F, **Corti S**. miRNA in spinal muscular atrophy pathogenesis and therapy. *J Cell Mol Med*. 2018 Feb;22(2):755-767. doi: 10.1111/jcmm.13450. Epub 2017 Nov 21. PMID: 29160009
149. Parente V, **Corti S**. Advances in spinal muscular atrophy therapeutics. *Ther Adv Neurol Disord*. 2018 Ther Adv Neurol Disord. 2018 Feb 5;11:1756285618754501. doi: 10.1177/1756285618754501. eCollection 2018. PMID: 29434670
150. Monfrini E, Melzi V, Buongarzone G, Franco G, Ronchi D, Dilena R, Scola E, Vizziello P, Bordoni A, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**, Di Fonzo A. A de novo C19orf12 heterozygous mutation in a patient with MPAN. *Parkinsonism Relat Disord*. 2018 Mar;48:109-111. doi: 10.1016/j.parkreldis.2017.12.025. Epub 2017 Dec 27.
151. Rinchetti P, Rizzuti M, Faravelli I, **Corti S**. MicroRNA Metabolism and Dysregulation in Amyotrophic Lateral Sclerosis. *Mol Neurobiol*. Mol Neurobiol. 2018 Mar;55(3):2617-2630. doi: 10.1007/s12035-017-0537-z. Epub 2017 Apr 18. PMID: 28421535
152. Nicolas A, Kenna KP, Renton AE, Ticozzi N, Faghri F, Chia R, Dominov JA, Kenna BJ, Nalls MA, Keagle P, Rivera AM, van Rheenen W, Murphy NA, van Vugt JJFA, Geiger JT, Van der Spek RA, Pliner HA, Shankaracharya, Smith BN, Marangi G, Topp SD, Abramzon Y, Gkazi AS, Eicher JD, Kenna A; ITALSGEN Consortium, Mora G, Calvo A, Mazzini L, Riva N, Mandrioli J, Caponnetto C, Battistini S, Volanti P, La Bella V, Conforti FL, Borghero G, Messina S, Simone IL, Trojsi F, Salvi F, Logullo FO, D'Alfonso S, Corrado L, Capasso M, Ferrucci L; Genomic Translation for ALS Care (GTAC) Consortium, Moreno CAM, Kamalakaran S, Goldstein DB; ALS Sequencing Consortium, Gitler AD, Harris T, Myers RM; NYGC ALS Consortium, Phatnani H, Musunuri RL, Evani US, Abhyankar A, Zody MC; Answer ALS Foundation, Kaye J, Finkbeiner S, Wyman SK, LeNail A, Lima L, Fraenkel E, Svendsen CN, Thompson LM, Van Eyk JE, Berry JD, Miller TM, Kolb SJ, Cudkowicz M, Baxi E; Clinical Research in ALS and Related Disorders for Therapeutic Development (CREATe) Consortium, Benatar M, Taylor JP, Rampersaud E, Wu G, Wu J; SLAGEN Consortium (**Corti S** in the study group), Lauria G, Verde F, Fogh I, Tiloca C, Comi GP, Sorarù G, Cereda C; French ALS Consortium, Corcia P, Laaksovirta H, Myllykangas L, Jansson L, Valori M, Ealing J, Hamdalla H, Rollinson S, Pickering-Brown S, Orrell RW, Sidle KC, Malaspina A, Hardy J, Singleton AB, Johnson JO, Arepalli S, Sapp PC, McKenna-Yasek D, Polak M, Asress S, Al-Sarraj S, King A, Troakes C, Vance C, de Belleruche J, Baas F, Ten Asbroek ALMA, Muñoz-Blanco JL, Hernandez DG, Ding J, Gibbs JR, Scholz SW, Floeter MK, Campbell RH, Landi F, Bowser R, Pulst SM, Ravits JM, MacGowan DJL, Kirby J, Pioro EP, Pamphlett R, Broach J, Gerhard G, Dunckley TL, Brady CB, Kowall NW, Troncoso JC, Le Ber I, Mouzat K, Lumbroso S, Heiman-Patterson TD, Kamel F, Van Den Bosch L, Baloh RH, Strom TM, Meitinger T, Shatunov A, Van Eijk KR, de Carvalho M, Kooyman M, Middelkoop B, Moisse M, McLaughlin RL, Van Es MA, Weber M, Boylan KB, Van Blitterswijk M, Rademakers R, Morrison KE, Basak AN, Mora JS, Drory VE, Shaw PJ, Turner MR, Talbot K, Hardiman O, Williams KL, Fifita JA, Nicholson GA,

Paola Corti

- Blair IP, Rouleau GA, Esteban-Pérez J, García-Redondo A, Al-Chalabi A; Project MinE ALS Sequencing Consortium, Rogaeva E, Zinman L, Ostrow LW, Maragakis NJ, Rothstein JD, Simmons Z, Cooper-Knock J, Brice A, Goutman SA, Feldman EL, Gibson SB, Taroni F, Ratti A, Gellera C, Van Damme P, Robberecht W, Fratta P, Sabatelli M, Lunetta C, Ludolph AC, Andersen PM, Weishaupt JH, Camu W, Trojanowski JQ, Van Deerlin VM, Brown RH Jr., van den Berg LH, Veldink JH, Harms MB, Glass JD, Stone DJ, Tienari P, Silani V, Chiò A, Shaw CE, Traynor BJ, Landers JE. Genome-wide Analyses Identify KIF5A as a Novel ALS Gene. *Neuron*. 2018 Mar 21;97(6):1268-1283.e6. doi: 10.1016/j.neuron.2018.02.027. PubMed PMID: 29566793; PubMed Central PMCID: PMC5867896.
153. Crisafulli SG, Brajkovic S, Cipolat Mis MS, Parente V, **Corti S**. Therapeutic Strategies Under Development Targeting Inflammatory Mechanisms in Amyotrophic Lateral Sclerosis. *Mol Neurobiol*. 2018 Apr;55(4):2789-2813. doi: 10.1007/s12035-017-0532-4. Epub 2017 Apr 28.
154. Faravelli I, **Corti S**. MicroRNA-Directed Neuronal Reprogramming as a Therapeutic Strategy for Neurological Diseases. *Mol Neurobiol*. 2018 May;55(5):4428-4436. doi: 10.1007/s12035-017-0671-7.
155. Abati E, Di Fonzo A, **Corti S**. In vitro models of multiple system atrophy from primary cells to induced pluripotent stem cells. *J Cell Mol Med*. 2018 May;22(5):2536-2546. doi: 10.1111/jcmm.13563.
156. Abati E, **Corti S**. Pregnancy outcomes in women with spinal muscular atrophy: A review. *J Neurol Sci*. 2018 May 15;388:50-60. doi: 10.1016/j.jns.2018.03.001. Epub 2018 Mar 2. PubMed PMID: 29627031.
157. Brusa R, Magri F, Papadimitriou D, Govoni A, Del Bo R, Ciscato P, Savarese M, Cinnante C, Walter MC, Abicht A, Bulst S, **Corti S**, Moggio M, Bresolin N, Nigro V, Comi GP. A new case of limb girdle muscular dystrophy 2G in a Greek patient, founder effect and review of the literature. *Neuromuscul Disord*. 2018 Jun;28(6):532-537. doi: 10.1016/j.nmd.2018.04.006. Epub 2018 Apr 13. PubMed PMID: 29759638.
158. 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 Jul 4;8(1):10105. doi: 10.1038/s41598-018-28366-1. PubMed PMID: 29973608; PubMed Central PMCID: PMC6031650.
159. Perego MGL, Taiana M, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. R-Loops in Motor Neuron Diseases. *Mol Neurobiol*. 2018 Jul 25. doi: 10.1007/s12035-018-1246-y. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 30047099.
160. Govoni A, Gagliardi D, Comi GP, **Corti S**. Time Is Motor Neuron: Therapeutic Window and Its Correlation with Pathogenetic Mechanisms in Spinal Muscular Atrophy. *Mol Neurobiol*. 2018 Aug;55(8):6850-6862. doi: 10.1007/s12035-018-0888-0. Epub 2018 Jan 20.

Paola Corti

161. Tamanini S, Comi GP, **Corti S**. In Vivo Transient and Partial Cell Reprogramming to Pluripotency as a Therapeutic Tool for Neurodegenerative Diseases. *Mol Neurobiol*. 2018 Aug;55(8):6850-6862. doi: 10.1007/s12035-018-0888-0. Epub 2018 Jan 20. PubMed PMID: 29353456.
162. Gagliardi D, Faravelli I, Villa L, Pero G, Cinnante C, Brusa R, Mauri E, Tresoldi L, Magri F, Govoni A, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Bilateral Cavernous Carotid Aneurysms: Atypical Presentation of a Rare Cause of Mass Effect. A Case Report and a Review of the Literature. *Front Neurol*. 2018 Aug 2;9:619. doi: 10.3389/fneur.2018.00619. eCollection 2018. PubMed PMID: 30116219; PubMed Central PMCID: PMC6084507.
163. Abati E, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Preconditioning and Cellular Engineering to Increase the Survival of Transplanted Neural Stem Cells for Motor Neuron Disease Therapy. *Mol Neurobiol*. 2018 Aug 17. doi: 10.1007/s12035-018-1305-4. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 30120734.
164. Ripolone M, Lucchini V, Ronchi D, Fagiolari G, Bordoni A, Fortunato F, Mondello S, Bonato S, Meregalli M, Torrente Y, **Corti S**, Comi GP, Moggio M, Sciacco M. Purkinje cell COX deficiency and mtDNA depletion in an animal model of spinocerebellar ataxia type 1. *J Neurosci Res*. 2018 Sep;96(9):1576-1585. doi: 10.1002/jnr.24263. PubMed PMID: 30113722.
165. Thangarajh M, Elfring GL, Trifillis P, McIntosh J, Peltz SW; (**Corti S** in the Study group) Ataluren Phase 2b Study Group. The relationship between deficit in digit span and genotype in nonsense mutation Duchenne muscular dystrophy. *Neurology*. 2018 Sep 25;91(13):e1215-e1219. doi: 10.1212/WNL.00000000000006245. Epub 2018 Aug 22.
166. Pagliarani S, Lucchiari S, Ulzi G, Ripolone M, Violano R, Fortunato F, Bordoni A, **Corti S**, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. Glucose-free/high-protein diet improves hepatomegaly and exercise intolerance in glycogen storage disease type III mice. *Biochim Biophys Acta*. 2018 Oct;1864(10):3407-3417. doi: 10.1016/j.bbadis.2018.07.031. Epub 2018 Aug 1.
167. Borsani O, Piga D, Costa S, Govoni A, Magri F, Artoni A, Cinnante CM, Fagiolari G, Ciscato P, Moggio M, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Stormorken Syndrome Caused by a p.R304W STIM1 Mutation: The First Italian Patient and a Review of the Literature. *Front Neurol*. 2018 Oct 15;9:859. doi: 10.3389/fneur.2018.00859. eCollection 2018. PubMed PMID: 30374325; PubMed Central PMCID: PMC6196270.
168. Monzio Compagnoni G, Kleiner G, Bordoni A, Fortunato F, Ronchi D, Salani S, Guida M, Corti C, Pichler I, Bergamini C, Fato R, Pellecchia MT, Vallelunga A, Del Sorbo F, Elia A, Reale C, Garavaglia B, Mora G, Albanese A, Cogiamanian F, Ardolino G, Bresolin N, **Corti S**, Comi GP, Quinzii CM, Di Fonzo A. Mitochondrial dysfunction in fibroblasts of Multiple System Atrophy. *Biochim Biophys Acta Mol Basis Dis*. 2018 Dec;1864(12):3588-3597. doi: 10.1016/j.bbadis.2018.09.018. Epub 2018 Sep 19. PubMed PMID: 30254015.

Paola Corti

169. Abati E, Faravelli I, Magri F, Govoni A, Velardo D, Gagliardi D, Mauri E, Brusa R, Bresolin N, Fabio G, Comi GP, Carrabba M, **Corti S**. Central Nervous System Involvement in Common Variable Immunodeficiency: A Case of Acute Unilateral Optic Neuritis in a 26-Year-Old Italian Patient. *Front Neurol*. 2018 Nov 30;9:1031. doi: 10.3389/fneur.2018.01031. eCollection 2018. PubMed PMID: 30555409; PubMed Central PMCID: PMC6284006.
170. Bersano A, Bedini G, Markus HS, Vitali P, Colli-Tibaldi E, Taroni F, Gellera C, Baratta S, Mosca L, Carrera P, Ferrari M, Cereda C, Grieco G, Lanfranconi S, Mazucchelli F, Zarcone D, De Lodovici ML, Bono G, Boncoraglio GB, Parati EA, Calloni MV, Perrone P, Bordo BM, Motto C, Agostoni E, Pezzini A, Padovani A, Micieli G, Cavallini A, Molini G, Sasanelli F, Sessa M, Comi G, Checcarelli N, Carmerlingo M, Corato M, Marcheselli S, Fusi L, Grampa G, Uccellini D, Beretta S, Ferrarese C, Incorvaia B, Tadeo CS, Adobbati L, Silani V, Faragò G, Trobia N, Grond-Ginsbach C, Candelise L; Lombardia GENS-group (**Corti S** in the study group). The role of clinical and neuroimaging features in the diagnosis of CADASIL. *J Neurol*. 2018 Dec;265(12):2934-2943. doi: 10.1007/s00415-018-9072-8. Epub 2018 Oct 11. PubMed PMID: 30311053.
171. 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 Nov 13;11(5):1185-1198. doi: 10.1016/j.stemcr.2018.09.007. Epub 2018 Oct 18. PubMed PMID: 30344007; PubMed Central PMCID: PMC6234905.
172. Mauri E, Dilena R, Boccazzi A, Ronchi D, Piga D, Triulzi F, Gagliardi D, Brusa R, Faravelli I, Bresolin N, Magri F, **Corti S**, Comi GP. Subclinical Leber's hereditary optic neuropathy with pediatric acute spinal cord onset: more than meets the eye. *BMC Neurol*. 2018 Dec 27;18(1):220. doi: 10.1186/s12883-018-1227-9. PubMed PMID: 30591017; PubMed Central PMCID: PMC6307307.
173. Gagliardi D, Comi GP, Bresolin N, **Corti S**. MicroRNAs as regulators of cell death mechanisms in amyotrophic lateral sclerosis. *J Cell Mol Med. J Cell Mol Med*. 2019 Mar;23(3):1647-1656. doi: 10.1111/jcmm.13976. Epub 2019 Jan 4. PubMed PMID: 30614179; PubMed Central PMCID: PMC6378226.
174. Gagliardi D, Mauri E, Magri F, Velardo D, Meneri M, Abati E, Brusa R, Faravelli I, Piga D, Ronchi D, Triulzi F, Peverelli L, Sciacco M, Bresolin N, Comi GP, **Corti S***, Govoni A*. Can Intestinal Pseudo-Obstruction Drive Recurrent Stroke-Like Episodes in Late-Onset MELAS Syndrome? A Case Report and Review of the Literature. *Front Neurol*. 2019 Jan 31;10:38. doi: 10.3389/fneur.2019.00038. eCollection 2019. PubMed PMID: 30766507; PubMed Central PMCID: PMC6365425. *These authors have contributed equally to this work.
175. Marcuzzo S, Bonanno S, Barzago C, D'Alessandro S, Cavalcante P, Galbardi P, Malacarne C, Taiana M, Nizzardo M, **Corti S**, Bechi G, Gambardella A, Franceschetti S, Mantegazza M, Zorzi G, Mantegazza R,

Paola Corti

Bernasconi P. Revealing the involvement of miR-376a, miR-432 and miR-451a in infantile ascending hereditary spastic paralysis by microRNA profiling in iPSCs *Journal of Translational Science*. Epub 2018 DOI: 10.15761/JTS.1000247

176. 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/SYNERIP and RNA-Motif 7 in spinal muscular atrophy: RNA-Seq and motif analysis of human motor neurons. *Brain*. 2019 Feb 1;142(2):276-294. doi: 10.1093/brain/awy330. PubMed PMID: 30649277; PubMed Central PMCID: PMC6351774.
177. Barbullushi K., Abati E, Rizzo F., Bresolin N., Comi GP, **Corti S**. Disease modelling and therapeutic strategies in CMT2A: state of the art. Accepted in *Molecular Neurobiology*. 2019 Sep;56(9):6460-6471. doi: 10.1007/s12035-019-1533-2. Epub 2019 Mar 4. PubMed PMID: 30830587.
178. Monfrini E, Straniero L, Bonato S, Monzio Compagnoni G, Bordoni A, Dilena R, Rinchetti P, Silipigni R, Ronchi D, **Corti S**, Comi GP, Bresolin N, Duga S, Di Fonzo A. Neurofascin (NFASC) gene mutation causes autosomal recessive ataxia with demyelinating neuropathy. *Parkinsonism Related Disorders*. 2019 Mar 1. pii: S1353-8020(19)30091-4. doi: 10.1016/j.parkreldis.2019.02.045. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 30850329.
179. Piga D, Salani S, Magri F, Brusa R, Mauri E, Comi GP, Bresolin N, **Corti S**. Human iPSC models for the study and treatment of Duchenne and Becker Muscular Dystrophies. *Therapeutic Advances in Neurological Disorders*. 2019 May 3;12:1756286419833478. doi: 10.1177/1756286419833478. eCollection 2019. PubMed PMID: 31105767; PubMed Central PMCID: PMC6501480.
180. 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 Nov;321:113041. doi: 10.1016/j.expneurol.2019.113041. Epub 2019 Aug 21. PubMed PMID: 31445043.
181. Gagliardi D, Meneri M, Saccomanno D, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Diagnostic and Prognostic Role of Blood and Cerebrospinal Fluid and Blood Neurofilaments in Amyotrophic Lateral Sclerosis: A Review of the Literature. *Int J Mol Sci*. 2019 Aug 25;20(17). pii: E4152. doi: 10.3390/ijms20174152. PubMed PMID: 31450699.
182. Brusa R, Faravelli I, Gagliardi D, Magri F, Cogiamanian F, Saccomanno D, Cinnante C, Mauri E, Abati E, Bresolin N, **Corti S**, Comi GP. Ophthalmoplegia Due to Miller Fisher Syndrome in a Patient With Myasthenia Gravis. *Front Neurol*. 2019 Aug 13;10:823. doi: 10.3389/fneur.2019.00823. eCollection 2019. PubMed PMID: 31456730; PubMed Central PMCID: PMC6700242.

Paola Corti

183. Abati E, Bresolin N, Comi G, **Corti S.** Advances, Challenges, and Perspectives in Translational Stem Cell Therapy for Amyotrophic Lateral Sclerosis. *Mol Neurobiol.* 2019 Oct;56(10):6703-6715. doi: 10.1007/s12035-019-1554-x. Epub 2019 Mar 26. PubMed PMID: 30911936.
184. Bitetto G, Ronchi D, Bonato S, Pittaro A, Compagnoni GM, Bordoni A, Salani S, Frattini E, Lopez G, Cribiù FM, **Corti S,** Comi GP, Bresolin N, Di Fonzo A. Loss of the nucleoporin Aladin in central nervous system and fibroblasts of Allgrove Syndrome. *Hum Mol Genet.* 2019 Oct 10. pii: ddz236. doi: 10.1093/hmg/ddz236. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 31600784.
185. Bellotti AS, Andreoli L, Ronchi D, Bresolin N, Comi GP, **Corti S.** Molecular Approaches for the Treatment of Pompe Disease. *Mol Neurobiol.* 2019 Nov 12. doi: 10.1007/s12035-019-01820-5. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 31713816.

Articoli pubblicati su riviste nazionali

1. Strazzer S., Perini M.P., **Corti S.,** Bresolin N.: Neurological abnormalities in Leber's hereditary optic neuropathy. SAGGI-NEUROPSICOLOGIA INFANTILE PSICOPEDAGOGIA RIABILITAZIONE Volume: 24 Issue: 2 Pages: 59-65 Published: 1998
2. Spaggiari E., Perini M.P., Brambilla D., Cappelletti L., Strazzer S., **Corti S.,** Bresolin N.: Usher Syndrome. Saggi-NEUROPSICOLOGIA INFANTILE PSICOPEDAGOGIA RIABILITAZIONE; 24 Issue: 1 Pages: 1-11 Published: 1998
3. Govoni A, Magri M., **Corti S,** Comi GP, Bresolin N. Prospettive terapeutiche nelle distrofie muscolari, La Neurologia Italiana, n. 4-2011

Capitoli in libri

- 1 Bresolin, S. **Corti, S.** Strazzer: Malattie del sistema nervoso centrale e periferico. Nuovo Roversi. Diagnostica e terapia
- 2 Bresolin, S. **Corti, S.** Strazzer: Malattie muscolari ed anomalie enzimatiche. III Workshop di Anestesia e Malattie Neuromuscolari, Alghero 1996
- 3 Faravelli I, **Corti S,** Bresolin N, Applicazioni delle cellule staminali in Neurologia, Neurologia Clinica 2014, Esculapio
- 4 Faravelli I., Corti S.P. Addressing Cell Therapy for Spinal Muscular Atrophy: Open Issues and Future Perspectives, Chapter 22 - Pages 357-367, in Spinal Muscular Atrophy Disease Mechanisms and Therapy Edited by:Charlotte J. Sumner, Sergey Paushkin and Chien-Ping Ko ISBN: 978-0-12-803685-3, Elsevier 2016
- 5 Faravelli I., Corti S.P. Cellular Therapy for Spinal Muscular Atrophy: Pearls and Pitfalls Chapter 11 -Pages 251-275, in Molecular and Cellular Therapies for Motor Neuron Diseases

Edited by: Nicholas M. Boulis, Deirdre O'Connor and Anthony Donsante ISBN: 978-0-12-802257-3, Elsevier 2017

Lavori pubblicati come Abstract a congressi internazionali

- 1 D'Angelo M.G., Ausenda C.D., Nesti S., Bordoni A., Del Bo R., Torrente Y., Perini M.P., **Corti S.**, Comi G., Bresolin N., Scarlato G: Permanently transformed myogenic cell lines treated with 5-AZA-cytidine show an enhanced expression of the exogenous gene. Sixth Meeting of the European Neurological Society. 8-12 June 1996. The Hague, The Netherlands. *Journal of Neurology*, Suppl. 2, vol 243 n°6, 1996.
- 2 Torrente Y., Bresolin N., Ausenda C.D., De Liso A., D'Angelo M.G., Casati R., Benti R., **Corti S.**, Comi G., Scarlato G.: Extracorporeal circulation as a new experimental approach for myoblast implantation. American Academy of Neurology 49th Annual Meeting, April 12-19, 1997; Boston, USA. *Neurology*, 48, 3: 442: 1997.
- 3 D'Angelo M.G., Ausenda C.D., Torrente Y., **Corti S.**, Perini M.P., Colucci M., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G.: 5 Azacytidine enhances exogenous gene expression in muscle. 5'Azacytidine enhances exogenous gene expression in muscle. American Academy of Neurology 49th Annual Meeting, April 12-19, 1997, Boston, USA. *Neurology*, 48, 3: 442: 1997.
- 4 Torrente Y., Bresolin N., Ausenda C.D., De Liso A., D'Angelo M.G., Casati R., Benti S., **Corti S.**, Comi G., Scarlato G. Experimental model for gene therapy in Duchenne Muscular Dystrophy: extracorporeal circulation for myoblast implantation. Seventh Meeting of the European Neurological Society, Rhodes, Greece, June 1997 *Journal of Neurology*, 244, S3: 137, 1997.
- 5 Ausenda C.D., D'Angelo M.G., Giorda R., Del Bo R., Perini M.P., Bordoni A., **Corti S.**, Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G. Modulation of myogenesis for the development of autologous transplant of myoblasts. Seventh Meeting of the European Neurological Society, Rhodes, Greece, June 1997 *Journal of Neurology*, 244, S3: 137, 1997.
- 6 Robotti M., Olivieri F.M., Bardoni A., **Corti S.**, Martinelli P., Bresolin N., Scarlato G.: Severe case of limb-girdle myopathy in a young male with hypophosphatemic osteomalacia. Seventh Meeting of the European Neurological Society, Rhodes, Greece, June 1997 *Journal of Neurology*, 244, S3: 125, 1997.
- 7 Valli G., D'Angelo M.G., **Corti S.**, Meroni P.L., Rivolta E.: Thymectomy in Myasthenia Gravis: delayed immunical hazards ?. XVI World Congress of Neurology, Buenos Aires-Argentina, September 14-19,1997 *Journal of The Neurological Sciences*.
- 8 **Corti S.**, D'Angelo MG, Colucci M, Torrente Y, Larovere A, Sironi E, Comi GP, Bresolin N, Scarlato G. An in vitro assay to study myoblast transendothelial migration. 50th Annual Meeting of the American Academy of Neurology. Minneapolis, MN, USA, April 25-May 2, 1998 *Neurology*, 50, S4, A283, 1998.
- 9 Torrente Y., D'Angelo M.G., Colucci M., **Corti S.**, Baldessari S., Basso V., DeLiso A., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G. Myogenic potential of somite-derived cells. 50th Annual Meeting of the American Academy of Neurology. Minneapolis, MN, USA, April 25-May

2, 1998 *Neurology*, 50, S4, A284, 1998.

- 10 Colucci M., Ausenda C.D., Torrente Y., DeLiso A., D'Angelo M.G., Giorda R., **Corti S.**, Fortunato F., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G. Fibroblasts mediated gene transfer to skeletal muscle: in vivo induction of myogenesis by a Tetracycline controlled promoter system. 50th Annual Meeting of the American Academy of Neurology. Minneapolis, MN, USA, April 25-May 2, 1998 *Neurology*, 50, S4, A325, 1998.
- 11 **Corti S.**, Bordoni A., Comi G.P., Bresolin N., Toscano A., Agenouz M., Tancredi L., Moggio M., Scarlato G. Mutation analysis of carnitine palmytoiltransferase (CPT) II gene in patients with decreased muscle CPT activity. 8th Meeting of the European Neurological Society, Nice, France, 6-10 June 1998 *Journal of Neurology*, 245, 423, 1998.
- 12 **Corti S.**, D'Angelo M.G., Colucci M., Torrente Y., Larovere A., Perini M.P., Salani S., Sironi M., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G.: Myoblast transendothelial migration: an in vitro assay. 8th Meeting of the European Neurological Society, Nice, France, 6-10 June 1998 *Journal of Neurology*, 245, 423, 1998.
- 13 D'Angelo M.G., Torrente Y., **Corti S.**, Colucci M., Del Bo R., Basso V., Strazzer S., DeLiso A. Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G. Somite-derived cell lines: myogenic potential in myoblast mediated gene therapy of Duchenne Muscular Dystrophy. 8^o Meeting of the European Neurological Society, Nizza, 6-10 giugno 1998. *Journal of Neurology*, vol. 245, No.6/7, pp. 423, 1998.
- 14 Del Bo R., Torrente Y., **Corti S.**, Salani S., D'Angelo M.G., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato N. Myogenic conversion of NIH 3T3 cells by a tetracycline controlled system in vitro and in vivo studies. 9^o Meeting of the European Neurological Society, Milano, 5-9 giugno 1999. *Journal of Neurology*, vol. 246, Suppl.1, pp. 140, 1999.
- 15 Paganoni S., **Corti S.**, Strazzer S., Perini M.P., Tadeo S., Torrente Y., Bresolin N., Scarlato G. Simultaneous cerebellar infarction in young monozygote twins with patent foramen ovale. Ninth Meeting of the European Neurological Society, 5-9 June, 1999, Milan, Italy *Journal of Neurology*, 246:p118, 1999.
- 16 Torrente Y., Fagiolari G., Gallanti A., Lamperti C., Salani S., Pisati F., **Corti S.**, Comi G.P., Moggio M., Bresolin N., Scarlato G. Apoptosis in myoblast transplantation. Meeting of the European Neurological Society, *Journal of Neurology*, vol 247. Suppl 3 June 2000.
- 17 **Corti S.** Martinuzzi A., Comi G.P., Locatelli F., Salani S., Fortunato F., Angelini C., Bresolin N., Scarlato G., Analysis of dystrophin expression in aminoglycoside treated myotubes of Duchenne Muscular Dystrophy Patients Meeting of the European Neurological Society, *Journal of Neurology*, 247 Suppl. 3-June 2000.
- 18 Strazzer S., **Corti S.**, Comi G.P., Del Bo R., Salani S., Fortunato F., Bresolin N., Scarlato G., Expression of muscle specific genes in mice bone marrow cells. 11^o Meeting of the European Neurological Society, Parigi, 21-25 aprile 2001. *Journal of Neurology*, vol. 248, Suppl. 2, pp. 91, 2001.

- 19 Torrente Y., D'Angelo M.G., Li Z., Del Bo R., **Corti S.**, Mericskay M., DeLiso A., Fassati A., Pisati F., Belicchi M., Paulin D., Comi G.P., Scarlato G., Bresolin N. Transplacental injection of somite-derived cells in mdx mouse embryos for the correction of dystrophin deficiency. Atti congresso "*Molecular Biology of Muscle Development and Disease*", Pacific Grove, California, 21-26 maggio 2000. p. 5.
- 20 D'Angelo M.G., Torrente Y., **Corti S.**, Pisati M., Belicchi M., Turconi A.C., Comi G.P., Bresolin N. The role of innervation in a mouse "in vitro" model of merosin negative congenital muscular dystrophy. Atti congresso "*Molecular Biology of Muscle Development and Disease*", Pacific Grove, California, 21-26 maggio 2000. p. 26.
- 21 **Corti S.**, Strazzer S., DelBo R., Salani S., D'Angelo M.G., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G., Chemotaxis of myogenic cells across endothelial monolayer "*Molecular Biology of Muscle Development and Disease*", Pacific Grove, California, 21-26 maggio 2000. p. 12.
- 22 **Corti S.**, Locatelli F., Strazzer S., Salani S., Del Bo R., Soligo D., Bossolasco P., Bresolin N., Scarlato G., Comi G.P. Modulated generation of neuronal cells from bone marrow by expansion and mobilization of circulating stem cells with in vivo cytokine treatment. *54th Annual Meeting of American Academy of Neurology*, Denver, 13-20 aprile 2002. *Neurology*, vol. 58, N° 7, Suppl. 3, A31, 2002.
- 23 **Corti S.**, Locatelli F., Strazzer S., Salani S., Del Bo R., Soligo D., Bossolasco P., Bresolin N., Scarlato G., Comi G.P. Modulated generation of neuronal cells from bone marrow by expansion and mobilization of circulating stem cells with in vivo cytokine treatment. Modulated generation of neuronal cells from bone marrow by expansion and mobilization of circulating stem cells with in vivo cytokine treatment. *12° Meeting of the European Neurological Society*, Berlino, 22-26 giugno 2002. *Journal of Neurology*, vol. 249, Suppl. 1, pp. 91, 2002.
- 24 Salani S., Lucchiari F., Fortunato F., Locatelli F., **Corti S.**, Crimi M., Bresolin N., Scarlato G., Comi G.P. Dysferlin expression pattern in human primary muscle cultures *12° Meeting of the European Neurological Society*, Berlino, 22-26 giugno 2002. *Journal of Neurology*, vol. 249, Suppl. 1, pp. 88, 2002.
- 25 Cagliani R., Gallanti A., Comi G., Ciscato P., Cardin V., Bonato S., Galbiati S., Prella A., **Corti S.**, Bresolin N., Moggio M. A novel autosomal dominant CAV3 gene mutation results in both RMD and LGMD in the same family. *12° Meeting of the European Neurological Society*, Berlino, 22-26 giugno 2002. *Journal of Neurology*, vol. 249, Suppl. 1, pp. 43, 2002.
- 26 Cagliani R., Gallanti A., Sironi M., Ciscato P., Cardin V., Bardoni A., Galbiati S., Chiveri L., **Corti S.**, Prella A., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. Coexistence of rippling muscle disease and limb girdle muscular dystrophy in a family with a novel autosomal dominant caveolin 3 gene mutation- *7th Congress of the World Muscle Society*, Rotterdam, NL. *Neuromuscular Disorders*, 12, 722-723, 2002.

Paola Corti

- 27 **Corti S.**, Locatelli F., Guglieri M., Papadimitriou D., Strazzer S., Salani S., Bendotti C. Comi G.P. BM derived stem cells contribute to CNS, heart and skeletal muscle regeneration in SOD1-G93A mice. 55th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Honolulu, March 29-April 5 2003. *Neurology*, vol. 60, Suppl. 5, S07.004, 2003.
- 28 Locatelli F., **Corti S.**, Donadoni C., Montesissa L., Guglieri M., Capra F., Strazzer S., Salani S., DelBo R., Fortunato F., Bresolin N., Comi G.P. BM derived stem cells contribute to CNS, heart and skeletal muscle regeneration in SOD1-G93A mice. 13° Meeting of the European Neurological Society, Istanbul, 14-18 giugno 2003. *Journal of Neurology*, vol. 250, Suppl. 2, pp. 205, 2003.
- 29 Bossolasco P., Soligo D., Comi G.P., **Corti S.**, Strazzer S., Quirici N., Lambertenghi Delilieri G. In vitro generation of muscle cells from adult human bone marrow. The American Society of Hematology 43rd Annual Meeting Orlando, Florida, December 7-11, 2001 *Blood* vol 98, 11, pp546.
- 30 Soligo D., Bossolasco P., **Corti S.**, Strazzer S., Comi G., Quirici N., Salani S., Del Bo R., Locatelli F., Lambertenghi-Delilieri G. "In vitro" differentiation of muscle cells from non-adherent murine and bone marrow fractions. 7th Congress of the European Hematology Association, Hematology Journal, 6-9 June 2002 Atti, Abstract 0149.
- 31 Bossolasco P., Soligo D., **Corti S.**, Strazzer S., Borsotti C., DelBo R., Fortunato F., Salani S., Quirici N., Bertolini F., Comi G.P., Lambertenghi Delilieri G. In vitro generation of muscle cells from adult human bone marrow. International Society for Experimental Hematology, Paris 2003.
- 32 Lucchiari S., Salani S., Fortunato F., Crimi M., **Corti S.**, Locatelli F., Bossolasco P., Bresolin N. Comi G.P. Expression of a dysferlin isoform deleted of exon 17 in human primary cultures and tissues. *Neuromuscular Disorders*, 13 (2003) 615-668.
- 33 **Corti S.**, Locatelli F., Guglieri M., Papadimitriou D., Salani S., Strazzer S., Del Bo R., Fortunato F., Comi G.P. A Subpopulation of Human Peripheral Blood Cells Develops Nestin-Positive Sphere Structures and Expresses Neuronal Markers. 56° Annual Meeting of American Academy of Neurology, San Francisco, 24 aprile-1 maggio 2004. *Neurology*, vol. 58, N° 7, Suppl. 3, A31, 2004.
- 34 **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D., Donadoni C., Guglieri M., Salani S., Strazzer S., Del Bo R., Comi G. P. Migration and differentiation of neural stem cells into nmd mice, an animal model of Spinal Muscular Atrophy. 14° Meeting of the European Neurological Society, Barcelona, 26-30 giugno 2004. *Journal of Neurology*, vol. 251, Suppl. 3, pp. 54-55, 2004.
- 35 Sciacco M., Del Bo R., **Corti S.**, Donadoni C., Grezzi S, Locatelli F, Salani S, Crimi M, Bresolin N. Comi G.P. Marked mtDNA mutational load in isolated blood CD34+ cells from healthy subjects. VI EUROMIT, Nijmegen, 2004. *BBA-Bioenergetics*, Vol 1657, Suppl. 1, pp. 80, 2004.

Paola Corti

- 36 Locatelli F., **Corti S.**, Papadimitriou D., Donadoni C., Del Bo R., Fortunato F., Strazzer S., Salani S., Bresolin N., Comi G. P. Multipotentiality, Homing Properties and Neurogenesis of CNS-Derived LeX(ssea-1)+/CXCR4+ Stem Cells. *57° Annual Meeting of American Academy of Neurology*, Miami, 9-16 aprile 2005. *Neurology*, Vol 64, Suppl 1, pp. A357-A358, 2005.
- 37 **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D., Donadoni C., Crimi M., Del Bo R., Bordoni A., Strazzer S., Salani S., Bresolin N., Comi G. P. Transplantation of ALDH Expressing Neural Stem Cell Subpopulation Derived from Spinal Cord into *Nmd* Mice, an Animal Model of SMARD1. *57° Annual Meeting of American Academy of Neurology*, Miami, 9-16 aprile 2005. *Neurology*, Vol 64, Suppl 1, pp. A74-A75, 2005.
- 38 Papadimitriou D., Locatelli F., **Corti S.**, Donadoni C., Del Bo R., Fortunato F., Strazzer S., Salani S., Bresolin N., Comi G.P. Pyramidal cells generation from multipotent CNS-derived LeX(ssea-1)+/CXCR4+ stem cells. *15° Meeting of the European Neurological Society*, Vienna, 18-22 giugno 2005. *Journal of Neurology*, vol. 252, Suppl. 2, pp. 66, 2005.
- 39 Locatelli F., **Corti S.**, Papadimitriou D., Donadoni C., Crimi M., Del Bo R., Bordoni A., Strazzer S., Salani S., Bresolin N., Comi G.P. Aldehyde dehydrogenase positive neuronal stem cells generate motor neurons and promote functional recovery in an animal model of Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress type 1. *15° Meeting of the European Neurological Society*, Vienna, 18-22 giugno 2005. *Journal of Neurology*, vol. 252, Suppl. 2, pp. 89, 2005.
- 40 Saccomanno D., **Corti S.**, Scarlato M., Allaria S., Comi G. P., Bresolin N., Carpo M. A typical cerebellar reactivity in patients sera with neurological disorders of suspected paraneoplastic nature. *PNS Euronetwork*. February 24-25, 2006. *Journal of Neuroimmunology*, vol 174 pp. 201, 2006.
- 41 Locatelli F., **Corti S.**, Papadimitriou D., Donadoni C., Salani S., Del Bo R., Fortunato F., Strazzer S., Nizzardo M., Sardanu G., Bresolin N., Comi G.P. siRNA Mediated Interference of Motoneuron Death Triggered by Fas in SOD1 G93A ALS Mouse Model. *58° Annual Meeting of American Academy of Neurology*, San Diego, 1-7 aprile 2006. *Neurology*, Suppl 1, 2006.
- 42 Papadimitriou D., **Corti S.**, Locatelli F., Donadoni C., Salani S., Del Bo R., Strazzer S., Nizzardo M., Sardanu G., Bresolin N., Comi G.P. SOX2-Dependent Dedifferentiation of Human Astrocytes in Multipotent Stem Cells as Possible Cell Source for Repair in CNS Diseases. *58° Annual Meeting of American Academy of Neurology*, San Diego, 1-7 aprile 2006. *Neurology*, Suppl 1, 2006.
- 43 **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D., Del Bo R., Donadoni C., Salani S., Strazzer S., Nizzardo M., Sardanu G., Bresolin N., Comi G.P. Transplantation of LeX+/CXCR4+ Adult Neural Stem Cells in the Spinal Cord of a Murine Model of Amyotrophic Lateral Sclerosis. *58° Annual*

Paola Corti

Meeting of American Academy of Neurology, San Diego, 1-7 aprile 2006. Neurology, Suppl 1, 2006.

- 44 Papadimitriou D., **Corti S.**, Locatelli F., Donadoni C., Salani S., Del Bo R., Strazzer S., Nizzardo M., Sardanù G., Bresolin N., Comi G.P. SOX2-Dependent Dedifferentiation of Human Astrocytes in Multipotent Stem Cells as Possible Cell Source for Repair in CNS Diseases. 58^o Annual Meeting of American Academy of Neurology, San Diego, 1-7 aprile 2006. Neurology, Suppl 1, 2006.
- 45 Marchesi C.; Pluderi M., Colleoni F., Belicchi M., Meregalli M., Farini A., Draghi L., Fruguglietti M.E., Ripolone M., Gavina M., Pisati F., Furlanetto M., Porretti L., Lopa R., Battistelli M., **Corti S.**, Prella A., Moggio M., Borsa S., Bello L., Gaini S.M., Tanzi M.C., Bresolin N., Grimoldi N., Torrente Y. Skin-derived stem cells transplanted into resorbable guides provide functional nerve regeneration after sciatic nerve resection. 2006 Neuroscience Meeting, Atlanta.
- 46 **Corti S.**, Bordoni A., Ronchi D., Santoro A., Papadimitriou D., Lamperti C., Lucchini V., Magri M., Guglieri M., Crugnola V., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. Familial Amyotrophic Lateral Sclerosis with a novel Q23R mutation in the Copper/zinc Superoxide Dismutase gene associated with muscle mitochondrial dysfunction. 59^o Annual Meeting of American Academy of Neurology, Boston, April 28–May 5, 2007. Neurology, vol 68, suppl. 1 pp: A246, 2007.
- 47 Papadimitriou D., **Corti S.**, Locatelli F., Nizzardo M., Cardini M., Donadoni C., Salani S., Del Bo R., Ghezzi S., Fortunato F., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P. Transplantation of an ALDHhiSSCio population as a potential therapy of spinal muscular atrophy. 59^o Annual Meeting of American Academy of Neurology, Boston, April 28–May 5, 2007. Neurology, vol 68, suppl. 1 pp: A248, 2007.
- 48 Bersano A., Del Bo R., Lamperti C., Ghezzi S., Bresolin N., Napoli L., Ballabio E., Moggio M., Candelise L., Comi G.P., **Corti S.** Clinical and pathological aspects of an Italian patient with inclusion body myopathy and frontotemporal dementia carrying a novel mutation in valosin-containing protein gene. 17^o Meeting of the European Neurological Society, Rhodes, June 16-20, 2007. Journal of Neurology, vol 254, suppl. 3 pp 70, 2007.
- 49 Papadimitriou D., **Corti S.**, Locatelli F., Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., DelBo R., Ghezzi S., Fortunato F., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P. Neural stem cell intratecal transplantation ameliorates the phenotype of a spinal muscular atrophy murine model. 17^o Meeting of the European Neurological Society, Rhodes, June 16-20, 2007. Journal of Neurology vol 254, suppl. 3, pp 184, 2007.

- 50 Lucchiari S., Pagliarani S., Moggio M., **Corti S.**, Lamperti C., Comi G.P. Hypokalaemic periodic paralysis: a new nonsense mutation in KCNJ 2 gene 17° Meeting of the European Neurological Society, Rhodes, June 16-20, 2007. *Journal of Neurology* vol 254, suppl. 3, pp 155, 2007.
- 51 Crugnola V., Lucchini V., **Corti S.**, Addobbati L., Ciammola A., Ticozzi N., Fruguglietti M. E, Prella A., Santoro D., Virgilio R., Silani V., Bresolin N., Moggio M., Comi G.P. Muscle mitochondrial oxidative defects in amyotrophic lateral sclerosis 17° Meeting of the European Neurological Society, Rhodes, June 16-20, 2007. *Journal of Neurology*, vol 254, suppl. 3, pp 183, 2007.
- 52 **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D., Fortunato F., Del Bo R., Donadoni C., Nizzardo M., Nardini M., Salani S., Ghezzi S., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P. Fas siRNA mediated interference reduces motor neuron death in amyotrophic lateral sclerosis mouse model. 12th International Congress of the World Muscle Society, Giardini Naxos –Taormina, October 17-20, 2007. *Neuromuscular Disorders*, vol 17, pp 824, 2007.
- 53 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Saladino F., Fortunato F., Tucci A., Bresolin N., Comi G.P. Murine Embryonic (mES) Derived Neural Stem Cells Transplantation Ameliorates Disease Phenotype of a Spinal Muscular Atrophy Model. 60° Annual Meeting of American Academy of Neurology, Chicago, April 12–April 19, 2008. *Neurology*.
- 54 Del Bo R., Ghezzi S., **Corti S.**, Santoro D., Briani C., Mancuso M., Siciliano G., Fenoglio C., Scarpini E., Bresolin N., Comi G.P. Progranulin Genotyping in 237 Sporadic Amyotrophic Lateral Sclerosis Patients. 60° Annual Meeting of American Academy of Neurology, Chicago, April 12–April 19, 2008. *Neurology*.
- 55 Magri F., Del Bo R., Ghezzi S., Tedeschi S., D'Angelo M.G., Coviello D., Prella A., Bordoni A., Sciacco M., Lamperti C., **Corti S.**, Torrente Y., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. Stop Codons, Duplications and Deletions of the Dystrophin Gene: Frequency and Clinical Follow-Up in 201 DMD Patients. 60° Annual Meeting of American Academy of Neurology, Chicago, April 12–April 19, 2008. *Neurology*.
- 56 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Fortunato F., Del Bo R., Locatelli F., Papadimitriou D., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P. HB9-Positive Neural Stem Cell-Derived Motor Neurons Improve Disease Phenotype after Transplantation into a SMARD1 Animal Model. 60° Annual Meeting of American Academy of Neurology, Chicago, April 12–April 19, 2008. *Neurology*.
- 57 Virgilio R., Ronchi D., Bordoni A., Fassone E., Moggio M., Bonato S., Conti G., Donadoni C., Barbetta L., Torgano G., **Corti S.**, Bresolin N., Comi G.P. Mitochondrial DNA G8363A mutation in the tRNA Lys gene: clinical features of a new family. 18° Meeting of the European

Paola Corti

Neurological Society, Nice, June 7-11, 2008. Journal of Neurology vol. 255, suppl. 2, pp 69, 2008.

- 58 **Corti S.**, Nardini M., Nizzardo M., Donadoni C., Salani S., Fortunato F., Del Bo R., Papadimitriou D., Locatelli F., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P. Transplanted neural stem cell-derived motor neurons improve SMARD1 disease phenotype. 18^o Meeting of the European Neurological Society, Nice, June 7-11, 2008. Journal of Neurology vol 255, suppl. 2, pp 70, 2008
- 59 Santoro D., Ghezzi S., **Corti S.**, Fruguglietti M.E., Prella A., Mancuso M., Siciliano G., Briani C., Bresolin N., Comi G.P., Del Bo R. Progranulin genetic variability is not associated to sporadic amyotrophic lateral sclerosis in Italian patients. 18^o Meeting of the European Neurological Society, Nice, June 7-11, 2008. Journal of Neurology suppl. 2, pp 115, 2008
- 60 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Fortunato F., Saladino F., Bresolin N., Comi G.P. Transplantation of neural stem cells derived from murine embryonic stem cells ameliorates spinal muscular atrophy phenotype. 18^o Meeting of the European Neurological Society, Nice, June 7-11, 2008. Journal of Neurology vol 255, suppl. 2, pp 118, 2008
- 61 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Fortunato F., Bresolin N., Comi G.P. Treatment of spinal muscular atrophy by transplantation of embryonic (ES) derived neural stem cells. 13th International Congress of the World Muscle Society, New Castle UK, September 29-2 October, 2008. Neuromuscular Disorders Vol 18 9-10, 760, 2008.
- 62 Virgilio R., Magri F., Del Bo R., Ghezzi S., Tedeschi S., D'Angelo M.G., Coviello D., Prella A., Bordoni A., Sciacco M., Lamperti C., **Corti S.**, Torrente Y., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. Comprehensive genetic analysis and clinical follow-up findings in 203 DMD patients. 13th International Congress of the World Muscle Society, New Castle UK, September 29-2 October, 2008. Neuromuscular Disorders Vol 18 9-10, 776-777, 2008.
- 63 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Fortunato F., Colciago G., Mezzina N, Bresolin N., Comi G.P. ES-derived neural stem cells transplantation improves disease phenotype of a spinal muscular atrophy model. 2008 Neuroscience Meeting, Washington.
- 64 Sansone V.A., Lucchiari S., Zanolini A., Pagliarani S., Fossati B., Panzeri M., **Corti S.**, Magri F., Bresolin N., Comi G.P., Meola G. Redefining clinical phenotype in a large cohort of Italian non-dystrophic myotonic patients. S25.005. 61st Annual Meeting of American Academy of Neurology, Seattle, 25 April-2 May, 2009. Neurology, vol 72, suppl. 3 pp: A261, 2009.
- 65 Del Bo R., **Corti S.**, Ranieri M., Ghezzi S., Santoro D., Ghione I., Pandolfo M., Sorarù G., Briani C., Mancuso M., Siciliano G., Bresolin N., Comi G.P. TARDBP genotyping in patients with Familial and sporadic ALS: identification of two novel mutations. P08.102. 61st Annual Meeting

of American Academy of Neurology, Seattle, 25 April-2 May, 2009. Neurology, vol 72, suppl. 3 pp:A391, 2009.

- 66 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Del Bo R., Papadimitriou D., Locatelli F., Mezzina N., Bresolin N., Comi G. “Motoneurons transplantation with pharmacological therapy to promote axonal elongation improves the phenotype of a model of Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress Type 1 (SMARD1)”. 61th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Seattle, May 2009. Neurology 2009.
- 67 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Salani S., Donadoni C., Ronchi D., Papadimitriou D., Virgilio R., Bresolin N., Comi G. “Transplantation of neural stem cells derived from engineered ESC lineage (sox2-βgeo/oct4-tk cells) improves the phenotype of a mouse model of Spinal Muscular Atrophy”. 61th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Seattle, May 2009. Neurology 2009.
- 68 **Corti S.**, Nizzardo M., Salani S., Nardini M., Donadoni C., Ronchi D., Simone C., Falcone M., Bresolin N., Comi G.P.. Neural stem cells derived from genetically engineered, lineage-selectable ES cells improves the phenotype of a mouse model of spinal muscular atrophy. 19th Meeting of the European Neurological Society, 20-24 June 2009, Milan, Italy. Journal of Neurology, vol. 256, suppl. 2, pp S19, 2009.
- 69 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., Moggio M., Bresolin N., Ferrero I., Comi G.P.. The mitochondrial disulfide relay system protein GFER is mutated in autosomal recessive myopathy with congenital cataract and COX deficiency. 19th Meeting of the European Neurological Society, 20-24 June 2009, Milan, Italy. Journal of Neurology, vol. 256, suppl. 2, pp S27, 2009.
- 70 Ronchi D., Raimondi M., Zecca C., Bordoni A., **Corti S.**, Gobbi C., Comi G.P. Novel homozygous mutation in SOD1 gene in a patient with familial amyotrophic lateral sclerosis. 19th Meeting of the European Neurological Society, 20-24 June 2009, Milan, Italy. Journal of Neurology, vol. 256, suppl. 2, pp S79, 2009.
- 71 Santoro D., Ghione I., **Corti S.**, Servida M., Prella A., Bresolin N., Comi G.P.. Decline of ALS-FRS and Norris scale scores in a group of patients affected by ALS and treated with lithium. 19th Meeting of the European Neurological Society, 20-24 June 2009, Milan, Italy. Journal of Neurology, vol. 256, suppl. 2, pp S81, 2009.
- 72 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Del Bo R., Papadimitriou D., Locatelli F., Bresolin N., Comi G.P. Motoneuron transplantation rescues the phenotype of spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1. 19th Meeting of the European Neurological Society, 20-24 June 2009, Milan, Italy. Journal of Neurology, vol.256, suppl. 2, pp S82, 2009.

Paola Corti

- 73 Del Bo R., Ghezzi S., **Corti S.**, Ranieri M., Santoro D., Ghione I., Pandolfo M., Prella A., Soraru G., Briani C., Mancuso M., Siciliano G., Angelini C., Bresolin N., Comi G.P.. TARDPB gene mutations in 314 individuals with familial and sporadic ALS. 19th Meeting of the European Neurological Society, 20-24 June 2009, Milan, Italy. *Journal of Neurology*, vol.256, suppl. 2, pp S82, 2009.
- 74 Lucchiari S., Sansone V., Pagliarani S., **Corti S.**, Magri F., Lamperti C., Raimondi M., D'Angelo M.G., Bresolin N., Comi G.P., Meola G. Novel CLCN1 gene mutation associated with myotonia congenita in Italian patients. 19th Meeting of the European Neurological Society, 20-24 June 2009, Milan, Italy. *Journal of Neurology*, vol.256, suppl. 2, pp S129, 2009.
- 75 Magri F., Govoni A., D'Angelo M.G., Del Bo R., Tedeschi S., Ghezzi S., Virgilio R., Bonato S., Gandossini S., Bordoni A., **Corti S.**, Crugnola V., Prella A., Lamperti C., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. Molecular epidemiology and clinical features of a large Italian cohort of 291 dystrophinopathic patients. 19th Meeting of the European Neurological Society, 20-24 June 2009, Milan, Italy. *Journal of Neurology*, vol.256, suppl. 2, pp S132, 2009.
- 76 Nizzardo M., Nardini M., Salani S., Donadoni C., Simone C., Falcone M., Mezzina N., Gianni F., Ronchi D., Papadimitriou D., Bresolin N., Comi G., **Corti S.** "Pluripotent engineered stem cell-derived neural stem cells improve spinal muscular atrophy phenotype in mice". The Society for Neuroscience 2009 Annual Meeting, Chicago, October 17-21 2009.
- 77 Ronchi D., Di Fonzo A., Lodi T., Fassone E., Tigano M., Lamperti C., **Corti S.**, Bordoni A., Fortunato F., Nizzardo M., Napoli L., Donadoni C., Salani S., Moggio M., Bresolin N., Ferrero I., Comi G.P.. A mutation in GFER gene discloses the involvement of the mitochondrial disulfide relay system in human mitochondrial disorders and neurodegeneration 40th Meeting of the Society for Neuroscience, Chicago 17-21 October 2009.
- 78 Nizzardo M., Salani S., Cardini M., Donadoni C., Ronchi D., Simone C., Falcone M., Bresolin N., Comi G.P. and **Corti S.** "Transplantation of neural stem cells derived from genetically engineered, lineage-selectable ES cells improves spinal muscular atrophy". ISSCR 7th annual meeting, Barcelona, July 8-11 2009.
- 79 **Corti S.**, Nizzardo M., Cardini M., Donadoni C., Salani S., Del Bo R., Papadimitriou D., Locatelli F., Bresolin N. and Comi G.P. "Stem Cell-derived motoneurons rescue the phenotype of spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1 (SMARD1)". ISSCR 7th annual meeting, Barcelona, July 8-11 2009.
- 80 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 G, **Corti S.** Beta-lactam antibiotics offer neuroprotection in a spinal muscular atrophy mouse model by multiple mechanisms. The Society for Neuroscience 2010 Annual Meeting, San Diego, November 13-18 2010.
- 81 Ronchi D., Di Fonzo A., Gallia F., Fassone E., Donadoni C., Salani S., Bordoni A., Rizzuti M., Del Bo R., **Corti S.** Sacilotto G., Nobile-Orazio E., Comi GP; A novel MAPT mutation

associated to late-onset spinal muscular atrophy without dementia in a large Italian family, The Society for Neuroscience 2010 Annual Meeting, San Diego, November 13-18 2010.

- 82 Del Bo R., **Corti S.**, Archetti S., Papetti A., Riboldi G., Ghezzi S., Ranieri M., Santoro D., Padovani A., Bresolin N., Comi GP, Borroni B. Contribution of FUS gene to FTLN-ALS spectrum: A genetic study in an Italian cohort of 484 patients. The Society for Neuroscience 2010 Annual Meeting, San Diego, November 13-18 2010.
- 83 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Simone C., Falcone M., Riboldi G., Bresolin N., and Comi G.P. "Systemic transplantation of c-kit+ cells ameliorates the phenotype of a mouse model of amyotrophic lateral sclerosis". XII International Congress on Neuromuscular Diseases, Naples, 17-22 July 2010.
- 84 Magri F., Govoni A., Del Bo R., D' Angelo M.G., Ghezzi S., Tedeschi S., Gandossini S., Bordoni A., **Corti S.**, Lucchini V., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. Dystrophin gene mutations and their clinical correlates in 319 Italian patients affected with dystrophinopathy. XII International Congress on Neuromuscular Diseases, Naples, 17-22 July 2010.
- 85 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Simone C., Falcone M., Mezzina N., Gianni F., Riboldi G., Bresolin N., and Comi G.P. "Systemic transplantation of c-kit+ cells exerts a therapeutic effect in a model of Amyotrophic Lateral Sclerosis". 62th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Toronto, April 10 - 17, 2010. Neurology 2010.
- 86 Nizzardo M., Nardini M., Ronchi D., Salani S., Simone C., Falcone M., Donadoni C., Comi G.P., **Corti S.** "Beta-lactam antibiotic offers neuroprotection in a spinal muscular atrophy mouse model by multiple mechanisms". 62th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Toronto, April 10 - 17, 2010. Neurology 2010.
- 87 Ranieri M., Del Bo R., **Corti S.**, Bordoni A., Mancarella G., Bresolin N., Comi G.P.. A splicing site OPA1 mutation associated with autosomal dominant optic atrophy in an Italian family. 20th Meeting of the European Neurological Society 19.06.2010 - 23.06.2010 Berlin
- 88 Magri F., Govoni A., Del Bo R., Colombo I., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.** A novel CHRNE gene mutation associated with congenital myasthenia: case report and review of the literature. 20th Meeting of the European Neurological Society 19.06.2010 - 23.06.2010 Berlin
- 89 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Simone C., Falcone M., Riboldi G., Bresolin N., and Comi G.P. "Systemic transplantation of c-kit+ cells exerts a therapeutic effect in a model of Amyotrophic Lateral Sclerosis". ISSCR 8th annual meeting, San Francisco, June 16-19 2010.
- 90 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Simone C., Falcone M., Riboldi G., Bresolin N., and Comi G.P. "Beta lactam antibiotic ameliorates spinal muscular atrophy phenotype in a mouse model by multiple mechanisms" The Society for Neuroscience 2010 Annual Meeting, San Diego, November 13-18 2010.

Paola Corti

- 91 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Simone C., Falcone M., Riboldi G., Bresolin N., and Comi G.P. Systemic transplantation of c-kit+ cells can ameliorate the phenotype of a mouse model of Amyotrophic Lateral Sclerosis. The Society for Neuroscience 2010 Annual Meeting, San Diego, November 13-18 2010.
- 92 Zago S, Corti S, Bersano A, Baron P, Cinnante C, Conti G, Cappellari A, Costa A, Bresolin N (2010). Is Brain's Early Visual Cortices Necessary for Visual Imagery? Evidence from a Cortical Blind Patient. *NEUROPSYCHOLOGY, DEVELOPMENT, AND COGNITION.*, vol. 24, p. 614, ISSN: 1385-4046
- 93 **Corti S.**, Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Riboldi G., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Papadimitriou D., Bresolin N., and Comi G.P. Directing Human Astrocytes into Neural Stem Cells and Neurons as Possible Tool for Repair in CNS Diseases. ". 63th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Honolulu, USA April 9 - 16, 2011. Neurology 2011.
- 94 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Simone C., Falcone M., Riboldi G., Donadoni C., Salani S., Menozzi G., Bonaglia C. Bresolin N., and Comi G.P. Generation of Motoneurons from Spinal Muscular Atrophy-Induced Pluripotent Stem Cells Free of Vector and Transgenic Sequences: In Vitro and In Vivo Analysis. 63th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Honolulu, USA April 9 - 16, 2011. Neurology 2011
- 95 Pagliarani S, Redaelli E, Magri F, Modoni A, Lecchi M, Lucchiari S, Scarlato M, Silvestri G, Sansone VA, Previtali S, **Corti S**, D'Amico A, Meola G, Lo Monaco M, Wanke E, Comi GP (2011). New Mutations in SCN4A and Their Biophysical Properties. . 63th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Honolulu, USA April 9 - 16, 2011. *NEUROLOGY*, vol. 76, p. A530, ISSN: 0028-3878
- 96 Del Bo R, Tiloca C, Pensato V, Corrado L, Ratti A, **Corti S**, Castellotti B, Luciano B, Soraru G, Cereda C, Mazzini L, Ticozzi N, Gellera C, Comi GP, Silani V (2011). Optineurin Gene Mutations in a Cohort of Italian Amyotrophic Lateral Sclerosis Patients. 63th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Honolulu, USA April 9 - 16, 2011. *NEUROLOGY*, vol. 76, p. A220, ISSN: 0028-3878
- 97 Riboldi G., Nizzardo M., Nardini M., Simone C., Falcone M., Ronchi D., Donadoni C., Salani S., Magri F., Bresolin N., Comi G., **Corti S.** "In vitro and in vivo analysis of motoneurons obtained from human-spinal muscular atrophy-induced pluripotent stem cells free of vector and transgenic sequences". XXI Meeting European Neurological Society, Lisbon, 28-31 May 2011.
- 98 Ranieri M., Ronchi D., Orcesi S., Spartà V., Cosi A., Bordoni A., Lucchini V., Fortunato F., Fassone E., Rulfi G., Rizzuti M., Ripolone M., Sciacco M., Moggio M., **Corti S.**, Savasta S., Berardinelli A., Veggiotti P., Comi G.P. Clinical and genetical heterogeneity in a cohort of paediatric patients affected with mitochondrial disorders. XXI Meeting European Neurological Society, Lisbon, 28-31 May 2011.
- 99 Govoni A., Magri F., Ghezzi S., Violano R., Colombo I., Scarlato M., Napoli L., Ciscato P., Sciacco M., Moggio M., Bresolin N., **Corti S.**, Comi G.P. Congenital myopathies: clinical,

morphological and molecular findings in a sample of 29 Italian patients. XXI Meeting European Neurological Society, Lisbon, 28-31 May 2011.

- 100 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Simone C., Falcone M., Riboldi G., Donadoni C., Salani S., Menozzi G., Bonaglia C., Bresolin N., Comi G.P. Motor neurons from human spinal muscular atrophy-induced pluripotent stem cells free of vector and transgenic sequences as a model and cell source for transplantation, 2011 Annual SMA Conference June 23rd – 26th, 2011.
- 101 **Corti S.**, Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Nardini M., Ronchi D., Donadoni C., Salani S., Riboldi G., Menozzi G., Bonaglia C., Bresolin N., Comi G.P. Motoneurons from human spinal muscular atrophy-induced pluripotent stem cells free of vector and transgenic sequences as a model and cell source for transplantation, 2011 SFN November 12-16 2011
- 102 Ronchi D., Orcesi S., Spartà V., Cosi A., Bordoni A., Lucchini V., Fortunato F., Fassone E., Tonduti DE., Rulfi G., Ranieri M., Rizzuti M., Ripolone M., Sciacco M., Moggio M., **Corti S.**, Savata S., Berardinelli A., Veggiotti P., Comi G.P. CNS involvement in a cohort of pediatric patients affected with mitochondrial disorders caused by heterogeneous biochemical and genetic defects, 2011 SFN November 12-16 2011
- 103 **Corti S.**, Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Riboldi G., Donadoni C., Salani S., Bresolin N., Comi G.P. Reprogramming human astrocytes into neural stem cells and neurons: Potential repair for central nervous system diseases, 2011 SFN November 12-16 2011
- 104 Berardinelli A., Fagiolari G., Vallejo D., Lucchini V., Bordoni A., Lamperti C., Ripolone M., **Corti S.**, Balottin U., Bresolin N., Comi G.P., Sciacco M., Moggio M. Oxidative defect in a large cohort of genetically-determined SMA cases, 16th Congress of the World Muscle Society, October 18-22, 2011, Neuromuscular Disorders Volume 21, Issues 9–10, October 2011, Page 683
- 105 Magri F., Del Bo R., D’Angelo M.G., Gandossini S., **Corti S.**, Lucchini V., Napoli L., Moggio M., Comi G.P. LGMD2L in Italian population: New mutations and clinical and morphological aspects, 16th Congress of the World Muscle Society, October 18-22, 2011, Neuromuscular Disorders, Volume 21, Issues 9–10, October 2011, Page 675
- 106 **Corti S.**, Magri F., Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Salani S., Donadoni C., M. Nardini, Riboldi G., Menozzi G., Bonaglia C., Rizzo F., Bresolin N., Comi G.P. A model for motor neuron degeneration and treatment of Spinal Muscular Atrophy using human induced pluripotent stem cells. 16th Congress of the World Muscle Society, October 18-22, 2011, Neuromuscular Disorders, Neuromuscular Disorders, Volume 21, Issues 9–10, October 2011, Page 686
- 107 Del Bo R., **Corti S.**, Riboldi G., Ranieri M., Fenoglio C., Galimberti D., Scarpini E., Bresolin N, Comi G. C9ORF72 Hexanucleotide Repeat Expansion in a Cohort of Italian Patients Affected by Amyotrophic Lateral Sclerosis with and without Frontotemporal Dementia, 64th Annual Meeting of American Academy of Neurology, New Orleans, USA April 25, 2012. Neurology 2012

Paola Corti

- 108 **Corti S**, Nizzardo M, Simone C, Falcone M, Nardini M, **Ronchi D**, Donadoni C, Salani S, Riboldi G, Menozzi G, Bonaglia C, Magri F, Bresolin N, Comi GP. Gene Corrected Spinal Muscular Atrophy-Induced Pluripotent Stem Cells and Motoneuron as a Model and Cell Source for Transplantation. *64th AAN annual meeting, New Orleans, April 21-28, 2012. Neurology, vol 78, April 25, 2012, IN8-2.002*
- 109 **Corti S**, Nizzardo M, Simone C, Falcone M, Nardini M, **Ronchi D**, Donadoni C, Salani S, Riboldi G, Menozzi G, Bonaglia C, Magri F, Bresolin N, Comi GP. Gene Corrected Spinal Muscular Atrophy-Induced Pluripotent Stem Cells and Motoneuron as a Model and Cell Source for Transplantation. *64rd AAN annual meeting, New Orleans, April 21-28, 2012. Neurology, vol 78, April 24, 2012, P03.176.*
- 110 Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Rizzo F., Salani S., Faravelli I., Zanetta C., Ruggieri M., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S**. Unmodified and Octa-guanidine morpholino Restores SMN Expression in CNS and Ameliorates phenotype in SMA Mice. FSMA Annual Meeting, Minneapolis, USA, June 20-24 2012.
- 111 Riboldi G, Nizzardo M, Nardini M, Simone C, Falcone M, Ronchi D, Donadoni C, Salani S, Magri F, Rizzo F, Ranieri M, Govoni A, Faravelli I, Zanetta C, Bresolin N, Comi G, **Corti S**. Genetic correction of spinal muscular atrophy-induced pluripotent stem cells and motoneurons as a disease model and cell source for transplantation. *22nd Meeting of the European Neurological Society, Prague, June 9-12, 2012. Journal of Neurology, vol 259, suppl. 1, S138, 2012.*
- 112 Ranieri M, Ronchi D, Bordoni A, Rizzuti M, Moggio MG, Sciacco M, Govoni A, Riboldi G, Messina S, Silani V, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP. CPEO due to mutations in the tRNA for isoleucine: two additional Italian cases. *22nd Meeting of The European Neurological Society, Prague, June 9-12, 2012. Journal of Neurology, vol 259, suppl. 1, S184, 2012.*
- 113 **Corti S.**, Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Nardini M., Ronchi D., Donadoni C., Salani S., Riboldi G., Menozzi G., Bonaglia C., Rizzo F., Magri F., Bresolin N., Comi G. Targeted gene correction of spinal muscular atrophy-induced pluripotent stem cells and motor neurons as a model and for cell therapy. SFN meeting, Oct. 13-17 2012
- 114 Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Rizzo F., Salani S., Faravelli I., Zanetta C, Ruggieri M., Bresolin N., Comi GP, **Corti S**. Unmodified and Octa-guanidine morpholino Restores SMN Expression in CNS and Ameliorates phenotype in SMA Mice. SFN meeting Oct. 13-17 2012
- 115 Ronchi D., Vallejo D., Ripolone M., Melzi V., Fagiolari G., Lucchini V., Violano R., Bordoni A., Lamperti C., Villa L., **Corti S.**, Balottin U., Bresolin N., Sciacco M., Berardinelli A., Moggio M., Comi G. Muscle cytochrome c oxidase defect and mitochondrial DNA depletion in spinal muscular atrophy. SFN meeting Oct. 13-17 2012
- 116 Gellera C., Tiloca C., Del Bo R., Corrado L., Pensato V., Agostini J, Cereda C., Ratti A., Castellotti B., **Corti S.**, Bagarotti A., Cagnin A., Milani P., Gabelli C., Riboldi G., Mazzini L., Sorarù G., D'Alfonso S., Taroni F., Comi G. P., Ticozzi N., Silani V.. Ubiquilin 2 mutations in

- Italian patients with amyotrophic lateral sclerosis and frontotemporal dementia. 62nd Annual Meeting of the American Society of Human Genetics, San Francisco 2012
- 117 **Corti S**, Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Ruggieri M, Salani S, Brajkovic S, Faravelli I, Zanetta C, Bresolin N, Comi GP. Transplantation of iPSCs-Derived Neural Stem Cells as Therapeutic Approach for Amyotrophic Lateral Sclerosis, *65th Annual Meeting of American Academy of Neurology*, March 16 to March 23, Neurology 2013.
- 118 **Corti S**, Nizzardo M, Simone C, Salani S, Rizzo F, Ruggieri M, Brajkovic S, Faravelli I, Zanetta C, Magri F, Bresolin N, Comi GP. Rescue of the Spinal Muscular Atrophy Phenotype in Mouse by Unmodified and Octa-Guanidine-Conjugated Morpholino Oligomers, *65th Annual Meeting of American Academy of Neurology*, March 16 to March 23, Neurology 2013. February 14, 2013 80 (1_MeetingAbstracts):P03.044
- 119 Magri F, Del Bo R, Fortunato F, D'Angelo MG, Govoni A, Brusa R, Brajkovic S, **Corti S**, Bresolin N, Moggio M, Comi GP. The Expanding Spectrum of LAMA2 Gene Mutations: From Congenital Muscular Dystrophy 1A to Limb Girdle Muscular Dystrophy 2R, *65th Annual Meeting of American Academy of Neurology*, March 16 to March 23, Neurology 2013.
- 120 Piga D, Ronchi D, Magri F, **Corti S**, Ghezzi S, Mercuri E, Bertini E, Toscano A, Moroni I, Moggio M, D'Angelo MG, Bruno C, Bresolin N, Comi GP. Next Generation Sequencing in the Analysis of an Italian Cohort of Patients Affected by Nemaline Myopathy , *65th Annual Meeting of American Academy of Neurology*, March 16 to March 23, Neurology 2013.
- 121 **Corti S** and Hedlund E. Identification of oculomotor-restricted genes with motor neuron protective properties for the development of ALS therapeutics. TLF meeting
- 122 **Corti S**, Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Ruggieri M, Salani S, Brajkovic S, Faravelli I, Zanetta C, Bresolin N and Comi GP. iPSCs-derived neural stem cells as a therapeutic approach for amyotrophic lateral sclerosis. ENCALS 2013 meeting.
- 123 Simone C., Ruggieri M., Nizzardo M., Rizzo F., Riboldi G., Salani S., Faravelli I., Zanetta C., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S**. Genome editing strategies for the development of a therapy for SMA. FSMA 2013 meeting
- 124 Nizzardo M, Simone C, Salani S, Ruepp M, Rizzo F, Ruggieri M, Brajkovic S, Moulton H, Muehlemann O, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Combined systemic and local morpholino treatment rescues the phenotype of SMA $\Delta 7$ mouse model. FSMA 2013 meeting
- 125 Ranieri M, Ronchi D, Di Fonzo A, Lin W, Bordoni A, Liu C, Fassone E, Pagliarani S, Rizzuti M, Zheng L, Filosto M, Ferro MT, Magri F, Peverelli L, Li H, Yuan YC, **Corti S**, Sciacco M, Moggio M, Bresolin N, Shen B, Comi GP. Mutations in DNA2 cause progressive myopathy with mtDNA instability. *23rd Meeting of The European Neurological Society, Barcelona June 8-11, 2013. Journal of Neurology, vol 260, suppl. 1, S246, 2012.*
- 126 Govoni A, Angelini C, Mongini T, Toscano A, Siciliano G, Tomelleri G, Mora M, Nigro V, Elena P, Musumeci O, Ricci G, Moroni I, Del Bo R, Brajkovic S, Fortunato F, Ronchi D, Riboldi

Paola Corti

- G, Ranieri M, **Corti S**, Moggio M, Bresolin N, Magri F, Comi GP. The Italian limb girdle muscular dystrophies (LGMD) registry: molecular and clinical data. *23rd Meeting of The European Neurological Society, Barcelona June 8-11, 2013. Journal of Neurology, vol 260, suppl. 1, S246, 2012.*
- 127 Ronchi D, Di Fonzo A, Bordoni A, Rizzuti M, Melzi V, **Corti S**, Sciacco M, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. Heterogeneous genetic landscape in Italian patients affected by adult onset mitochondrial disorders featuring muscle mtDNA instability. *Mitochondrial Disease: Translating biology into new treatments. Cambridge (UK), October 2-4, 2013.*
- 128 **Corti S**, Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Ruggieri M, Salani S, Faravelli I, Zanetta C, Riboldi G, Brajkovic S, Bresolin N, Comi GP. Amyotrophic lateral sclerosis: new therapeutic perspectives offered by iPSCs-derived neural stem cells. Alsmnd meeting 2013;
- 129 Ruggieri M, Simone C, Nizzardo M, *Rizzo F*, Riboldi G, Salani S, Faravelli I, Zanetta C, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Targeted Genome Editing for developing novel therapeutic approaches for SMA. Alsmnd meeting 2013;
- 130 Ruggieri M, Simone C, Nizzardo M, Rizzo F, Riboldi G, Salani S, Zanetta C, Faravelli I, Bresolin N, Comi GP, Corti S Genome editing strategies for the development of a treatment for SMA SFN 2013
- 131 Rizzo F, Nizzardo M, Simone C, Ruggieri M, Salani S, Faravelli I, Zanetta C, Bresolin N, Comi GP, Corti S. iPSCs-derived neural stem cells transplantation as therapeutic strategy for amyotrophic lateral sclerosis. SFN 2013
- 132 Ronchi D, Ripolone M, Barca E, Berardinelli A, Morandi L, Mora M, Bordoni A, Fortunato F, Fagiolari G, Violano R, Vallejo D, **Corti S**, Toscano A, Sciacco M, DiMauro S, Comi G, Moggio M. Defective Muscle Mitochondrial Biogenesis in Spinal Muscular Atrophy. *66th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Philadelphia 2014, Neurology 2014.*
- 133 Ronchi D, Bonato S, Di Biase E, Melzi V, Trezzi I, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP, Di Fonzo A. Mutational Analysis of COQ2 in Italian Patients with MSA. *66th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Philadelphia 2014, Neurology 2014*
- 134 Riboldi G, Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Ruggieri M, Pagliarani S, Ulzi G, Salani S, DalMas A, Bucchia M, Frattini E, Stuppia G, Magri F, Bresolin N, Pagani F, Comi G, **Corti S**. Spinal Muscular Atrophy Phenotype Is Ameliorated Either By SMN Increase Or Modulation Of Secondary Cell Death Events With RNA Therapy. *66th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Philadelphia 2014, Neurology 2014*
- 135 **Corti S**, Simone C, Nizzardo M, Rizzo F, Ruggieri M, Salani S, Bucchia M, Rinchetti P, Zanetta C, Faravelli I, Monguzzi E, Magri F, Bresolin N, Comi G. iPSC-Derived Neural Stem Cells Ameliorate The Phenotype Of Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress Type 1 (SMARD1). *66th Annual Meeting of American Academy of Neurology, Philadelphia 2014, Neurology 2014*

Paola Corti

- 136 Riboldi G, Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Ruggieri M, Pagliarani S, Ulzi G, Salani S, DalMas A, Bucchia M, Frattini E, Stuppia G, Magri F, Bresolin N, Pagani F, Comi G, **Corti S**. Spinal Muscular Atrophy Phenotype Is Ameliorated Either By SMN Increase Or Modulation Of Secondary Cell Death Events With RNA Therapy. *66th Annual Meeting of American Academy of Neurology*, Philadelphia 2014, Neurology 2014
- 137 **Corti S** and Hedlund H. Identification of oculomotor-restricted genes with motor neuron protective properties for the development of ALS therapeutics. TLF meeting 2014
- 138 Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Bucchia M, Dametti S, Ramirez A, **Corti S** ALS therapy via transplantation of an iPSC-derived LeX+CXCR4+VLA4+ neural stem cell subpopulation. ENCALS meeting Leuven 2014
- 139 Riboldi, G. Rizzo, F. Ranieri, M. Brajkovic, S. Stuppia, G. Nizzardo, M. Simone, C. Ruggieri, M. Salani, S. Bucchia, M. Magri, F. Bresolin, N. Comi, G. P. **Corti, S.** TI Modelling pathogenesis and treatment of Mitofusin 2 disease using patient-specific iPSCs EUROPEAN JOURNAL OF NEUROLOGY, 21 EP1161 BP 136 EP 136 SU 1 PD MAY 2014 Joint Congress of European Neurology MAY 31-JUN 03, 2014 CL Istanbul, TURKEY European Federat Neurol Soc PT J
- 140 Lanfranconi, S. Ronchi, D. Ahmed, N. Basilico, P. Bresolin, N. Comi, G. P. **Corti, S. P.** TI A novel mutation in KRIT1 gene associated with familial cerebral cavernous malformations EUROPEAN JOURNAL OF NEUROLOGY VL 21 EP2115 BP 184 MAY 2014 Joint Congress of European Neurology MAY 31-JUN 03, 2014 CL Istanbul, TURKEY SP European Federat Neurol Soc
- 141 Ranieri, M. Riboldi, G. Brajkovic, S. **Corti, S.** Simone, C. Nizzardo, M. Rizzo, F. Ruggieri, M. Salani, S. Bucchia, M. Rinchetti, P. Zanetta, C. Faravelli, I. Monguzzi, E. Magri, F. Bresolin, N. Comi, G. P. TI iPSC-derived neural stem cells improve the phenotype of spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1 (SMARD1) EUROPEAN JOURNAL OF NEUROLOGY VL 21 EP4117 BP 328 MAY 2014 Joint Congress of European Neurology MAY 31-JUN 03, 2014 CL Istanbul, TURKEY SP European Federat Neurol Soc
- 142 Brajkovic, S. Riboldi, G. Ranieri, M. Nizzardo, M. Simone, C. Rizzo, F. Ruggieri, M. Salani, S. Dal Mas, A. Bucchia, M. Frattini, E. Stuppia, G. Magri, F. Bresolin, N. Pagani, F. Comi, G. P. **Corti, S.** TI RNA-based strategies leading to either an increase of SMN or modulation of disease pathways ameliorated spinal muscular atrophy phenotype EUROPEAN JOURNAL OF NEUROLOGY VL 21 EP4119 MAY 2014 Joint Congress of European Neurology MAY 31-JUN 03, 2014 CL Istanbul, TURKEY SP European Federat Neurol Soc
- 143 Magri F., Govoni A., Del Bo R., D'angelo MG., Gandossini S., Brusa R., Colombo I., Moroni I., Mongini T., Mora M., Angelini C., Tomelleri G., Siciliano G., Toscano A., **Corti S.**, Bresolin N., Comi GP., Natural history and peculiar aspects in LGMD2B. *XIII International Congress on Neuromuscular Diseases (ICNMD XIII)*, Nice, France, July 5-10, 2014
- 144 Nizzardo M., Simone C., Rizzo F., Ruggieri M., Salani S., DalMas A., Bucchia M., Frattini E., Stuppia G., Riboldi G., Magri F., Bresolin N., Pagani F., Comi GP., **Corti S.** Amelioration of

spinal muscular atrophy using RNA therapy to increase SMN level and modulate other secondary therapeutic targets. *XIII International Congress on Neuromuscular Diseases (ICNMD XIII)*, Nice, France, July 5-10, 2014

- 145 **Corti S.**, Simone C., Nizzardo M., Rizzo F., Ruggieri M., Salani S., Bucchia M., Rinchetti P., Zanetta C., Faravelli I., Magri F., Bresolin N., Comi GP: Improvement of SMARD1 phenotype using iPSC-derived neural stem cells transplantation. *XIII International Congress on Neuromuscular Diseases (ICNMD XIII)*, Nice, France, July 5-10, 2014
- 146 **Corti S.**, Simone C., Nizzardo M., Rizzo F., Ruggieri M., Salani S., Bucchia M., Rinchetti P., Zanetta C., Faravelli I., Magri F., Bresolin N., Comi GP: Improvement of SMARD1 phenotype using iPSC-derived neural stem cells transplantation. *XIII International Congress on Neuromuscular Diseases (ICNMD XIII)*, Nice, France, July 5-10, 2014
- 147 Magri F., Govoni A., Brusa R., Angelini C., D'Angelo M.G., Mongini T., Toscano A., Siciliano G., Tomelleri G, Mora M., Nigro V., Pegoraro E., Morandi L., Musumeci O., Sciacco M., Ricci G., I Moroni, Gandossini S, R Del Bo, Fortunato F., Ronchi D., Corti S., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. The Italian Registry of Limb Girdle Muscular Dystrophy: Natural history, genotype-phenotype correlations and outcome measures. WMS Berlin 2014
- 148 Ronchi D., Previtali S., Magri F., Corti S.; Comi G.P. A novel splice-site mutation in SMN1 resulting in a very severe SMA1 phenotype. WMS Berlin 2014
- 149 Simone C., Nizzardo M., Rizzo F., Ruggieri M., Riboldi G., Salani S., Bucchia M., Rinchetti P., Porro F., Bresolin N., Comi GP, **Corti S.** iPSC-derived neural stem cells act via kinase inhibition to exert neuroprotective effects in SMARD1, *SFN* 2014
- 150 Bucchia M., Nizzardo M., Simone C., Rizzo F., Ulzi G., Dametti S., Ramirez A., Frattini E., Pagliarani S., Bresolin N., Pagani F., Comi GP, **Corti S.** Regulation of SMN and other key pathogenetic events in Spinal Muscular Atrophy (SMA): Moving to RNA-Based treatment strategies, *SFN* 2014
- 151 Simone C, Nizzardo M, Rizzo F, Bucchia M, Ramirez A, Bresolin N, Comi G, **Corti S** Transplantation of an iPSC-derived CD15+CXCR4+VLA4+ neural stem cell subpopulation as a new therapy for ALS. AAN meeting Washington 2015 (data blitz and poster)
- 152 Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Salani S, Ulzi G, Dametti S, Rinchetti P, Del Bo R, Kaspar B, Foust K, Bresolin N, Comi GP, **Corti S.** AAV9-mediated gene therapy in a SMARD1 mouse model. AAN meeting Washington 2015 (**Plenary Session**)
- 153 **Corti** and Hedlund Identification of oculomotor-restricted genes with motor neuron protective properties for the development of ALS therapeutics. TLF meeting 2015
- 154 Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Bucchia M, Dametti S, Ramirez A, **Corti S** Transplantation of a neural stem cell subpopulation as cell-based therapy for ALS. ENCALS meeting 2015, Dublin

Paola Corti

- 155 Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Ulzi G, Ramirez A, Bucchia M, Bordoni A, Bresolin N, Comi GP, and **Corti S**. SOD1 reduction morpholino-mediated ameliorates Amyotrophic Lateral Sclerosis disease phenotype. ENCALS meeting 2015
- 156 Ramirez A, Bucchia M, Simone C, Nizzardo M, Rizzo F, Dametti S, Trombetta E, **Corti S** iPSC derived neural stem cell transplantation as a new therapy for ALS. VI Meeting on the Molecular Mechanisms of Neurodegeneration, Milan, May 28th- 30th, 2015, Milan
- 157 **Corti S**. The use of synthetic oligonucleotides to improve motor neuron survival in Spinal Muscular Atrophy" VI Meeting on the "Molecular Mechanisms of Neurodegeneration" Milan, Italy, May 28th- 30th, 2015, Milan
- 158 Brajkovic, C. Simone, M. Nizzardo, F. Rizzo, M. Bucchia, A. Ramirez, N. Bresolin, G. P. Comi, **S. Corti**. A new therapeutic approach for Amyotrophic Lateral Sclerosis: iPSC-derived CD15+CXCR4+VLA4+ neural stem cell transplantation, ENS 2015
- 159 Simone C, Nizzardo M., Rizzo F, Ulzi G, Ramirez A, Bucchia M, Bordoni A, Comi G, **Corti, S** Morpholino antisense oligomer against SOD1 for amyotrophic lateral sclerosis therapy SFN 2015
- 160 Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Salani S, Rinchetti P, Del Bo R, Dametti S, Foust K, Kaspar BK, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Gene therapy rescues disease phenotype in a spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1 (SMARD1) mouse model SFN 2015
- 161 **Corti S** and Hedlund E. Identification of oculomotor-restricted genes with motor neuron protective properties for the development of ALS therapeutics. TLF meeting 2016
- 162 Bucchia M., Nizzardo M., Ramirez A., Rizzo F., Rizzuti M., Rinchetti P., Ulzi G., Bordoni A., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S**. Morpholino antisense oligomers as a therapeutic approach for Amyotrophic Lateral Sclerosis. The 27th International Symposium on ALS/MND, Dublin, Ireland, 2016.
- 163 Nizzardo M., Bucchia M., Ramirez A., Rizzo F., Rizzuti M., Rinchetti P., Ulzi G., Bordoni A., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S**. Antisense oligonucleotides-based strategy as a therapy for the development of genetic Motor Neuron Diseases. The Society for Neuroscience 2016 Annual Meeting, San Diego, USA, 2016.
- 164 Rizzo F, Ronchi R, Salani S, Nizzardo M, Fortunato F, Bordoni A, Stuppia G., Del Bo R, Piga D, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**. Selective mitochondrial depletion and enhanced mitophagy in human Charcot-Marie-Tooth 2A motor neurons. The Society for Neuroscience 2016 Annual Meeting, San Diego, USA, 2016.
- 165 Rizzo F, Ramirez A, Ronchi R, Salani S, Nizzardo M, Fortunato F, Bordoni A, Bresolin N, Comi GP, **Corti S** Functional analysis and genome-wide RNA-seq of human motor neurons implicate selective mitochondrial depletion, resistance to apoptosis and increased mitophagy in Charcot-Marie-Tooth 2a. 6th international charcot-marie-tooth and related neuropathy consortium (CMTR) meeting. Venezia, Settembre 2016.

- 166 Ronchi D, Rizzo F, Salani S, Nizzardo M, Fortunato F, Bordoni A, Stuppia G, Del Bo R, Piga D, Bresolin N, Comi GP, **Corti S.** Selective mitochondrial depletion, apoptosis resistance, and increased mitophagy in human Charcot-Marie-Tooth 2A motor neurons. *Mitochondrial medicine: developing new treatments for mitochondrial disease*, Hinxton, Cambridge, 2016.
- 167 Bucchia M, Ramirez A, Rizzo F, Rizzuti M, Rinchetti P, Ulzi G, Bassani G, Bordoni A, Bresolin N, Comi GP, **Corti S.**, Nizzardo M. Antisense oligonucleotides approach for the development of Amyotrophic Lateral Sclerosis therapy, ENCALS meeting 2016.
- 168 Nizzardo M, Rizzo F, Ulzi G, Comley L, Allodi I, Nichterwitz S, Bresolin N, Comi GP, Hedlund E, and **Corti S.** Oculomotor restricted protein SYT13 protects motor neuron from selective death in ALS and SMA, ENCALS meeting 2016.
- 169 **Corti S.**, Rizzuti M., Ramirez A., Rizzo F., Rinchetti P., Bucchia M., Bresolin N., Comi GP, Nizzardo M. Development of peptide-conjugated morpholino oligomers for SMA therapy. *Cure SMA 16-18*, June, Anaheim, 2016.
- 170 Loffreda A., Arosio A., Ruepp M.-D., Rizzuti M., Rinchetti P., Nizzardo M., Tremolizzo L., Lunetta C., Ferrarese C., **Corti S.**, Barabino S.. MicroRNAs in ALS: from molecular mechanisms to clinical relevance. 21st Annual Meeting of the RNA Society, Lake District, UK. 2016.
- 171 Faravelli I, Simone C., Rizzo F., Ulzi G., Ramirez A., Bucchia M, Bordoni A., Bresolin N., Comi GP, **Corti S.**, Nizzardo M. Targeting SOD1 with Morpholino for Amyotrophic Lateral Sclerosis treatment. 2nd European Academy of Neurology Congress, Copenhagen, Denmark, May 28-31 2016
- 172 Nizzardo M., Rizzo F., Taiana M., Rinchetti P., Bucchia M., Brajkovic S., Bresolin N., Comi G.P., Barabino S., **Corti S.** C9ORF7 2patient specific iPSC-derived lines as ALS in vitro model. 28th International Symposium on ALS/MND, Boston, USA, 2017.
- 173 Rizzuti M., Nizzardo M., Melzi V., Filosa G., Dioni L., Calandriello L., Bresolin N., Comi G.P., Barabino S., **Corti S.** MiRNA profiling of ALS iPSCs and iPSC-derived motor neurons: molecular and therapeutic implication. 28th International Symposium on ALS/MND, Boston, USA, 2017.
- 174 Nizzardo M., Rizzo F., Taiana M., Allodi I., AguilaBenitez J., Nijssen J., Ulzi G., Melzi V., Del Bo R., Bresolin N., Comi G.P., Hedlund E. and **Corti S.** Synaptotagmin 13 protects motor neurons from degeneration in ALS and SMA. *The Society for Neuroscience 2017 Annual Meeting*, Washington, USA, 2017.
- 175 Rizzuti M., Nizzardo M., Melzi V., Filosa G., Dioni L., Calandriello L., Locatelli M., Bresolin N., Barabino S., Comi G.P., **Corti S.** microRNAs profile of iPSCs-derived motor neurons as molecular therapy for ALS. *The Society for Neuroscience 2017 Annual Meeting*, Washington, USA, 2017.

Paola Corti

- 176 Taiana M., Forotti G., Nizzardo M., Bucchia M., Ramirez A., Rizzo F., Bresolin N., Comi G., **Corti S.** A specific iPSC-derived neural stem cells subpopulation improves the SMARD1 pathology in human and rodent models. 2017 Annual SMA Conference, Orlando, USA, 2017.
- 177 Rizzo F., Nizzardo M., Bucchia M., Vashisht S., Salani S., Melzi V., Bordoni A., Bresolin N., Comi GP, Pozzoli U., and **Corti S.** SMN deficiency impairs its interaction with hnRNP proteins altering expression and splicing of axonal and synaptic genes in spinal muscular atrophy. 2017 Annual SMA Conference, Orlando, USA, 2017.
- 178 Rizzuti M, Nizzardo M, Melzi V, Filosa G, Dioni L, Calandriello L, Locatelli M, Bresolin N, Barabino S, Comi G, **Corti S.** Exploiting Integrated miRNAs Analysis of Patient-derived iPSCs-Motor Neurons to Develop a Molecular Therapy for ALS. AMERICAN ACADEMY OF NEUROLOGY Boston, USA, 2017.
- 179 Rizzo F., Nizzardo M., Vashisht S., Melzi V., Faravelli I., Salani S., Bucchia M., Taiana M., Bordoni A., Bresolin N., Pozzoli U., Comi G., **Corti S.** A Subset of Axonal and Synaptic Genes with Altered Expression/Splicing in SMA-MNs Harbour a Common Motif that Interacts with SMN/SYNCRIP Complex. AMERICAN ACADEMY OF NEUROLOGY Boston, USA, 2017.
- 180 Ronchi D, Ribaud F, Aureli M , Schiumarini D, Salani S, Tartari S, Garbellini M, Bordoni A, Tiziano D, Bertini E, Filosto M, Filocamo M, Sonnino S, De Francesco R, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP. "Patients derived cellular models to investigate the pathogenesis and to develop therapies for human disorders caused by acid ceramidase deficiency". 2017 Annual Meeting of the American Academy of Neurology, Boston, USA
- 181 Faravelli I, Rinchetti P., Calandriello L., Forotti G., Cordiglieri C., Bresolin N., Comi G.P., Nizzardo M. and **Corti S.** Modelling Spinal Muscular Atrophy with human 3D culture systems for pathogenic studies and therapeutic development. SIBBM 2017, Milan, Italy.
- 182 Nizzardo M., Melzi V., Rizzuti M., Filosa G., Calandriello L., Locatelli M., Perego M., Dioni L., Bresolin N., Comi G.P., Barabino S., **Corti S.** MicroRNAs analysis of patient-derived iPSCs as molecular therapy for ALS. ENCALS meeting 2017, Ljubljana, Slovenia, 2017.
- 183 Nizzardo M., Rizzo F., Taiana M., Tamanini S., Allodi I., Aguila Benitez J., Nijssen J., Melzi V., Del Bo R., Bresolin N., Comi GP, Hedlund E., **Corti S.** Synaptotagmin 13 protects motor neurons from degeneration in ALS. ENCALS meeting 2017, Ljubljana, Slovenia, 2017.
- 184 Brajkovic S., Bucchia M., Nizzardo M., Ramirez A., Rizzo F., Rizzuti M., Rinchetti P., Ulzi G., Bordoni A., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.** Antisense oligonucleotides-based therapy as a promising therapy for Amyotrophic Lateral Sclerosis. European Academy of Neurology, Amsterdam, 2017
- 185 Forotti G., Nizzardo M., **Corti S.** A specific iPSC-derived neural stem cells subpopulation, positive for LewisX, CXCR4 and $\beta 1$ integrin, improves the pathology of a mouse model of SMARD1. International Scientific Congress on Spinal Muscular Atrophy 2018 Cracovia

Paola Corti

- 186 **Corti S** RNA-Seq and Motif Analysis of Human Motor Neurons Reveals a critical role of SMN/Syncrin complex and Motif 7 in Spinal Muscular Atrophy. International Scientific Congress on Spinal Muscular Atrophy 2018 Cracovia
- 187 Rizzuti M., Nizzardo M., Melzi V., Filosa G., Dioni L., Calandriello L., Locatelli M., Bresolin N., Barabino S., Comi G., **Corti S.**, Exploiting Integrated miRNAs Analysis of Patient-derived iPSCs-Motor Neurons to Develop a Molecular Therapy for ALS, AMERICAN ACADEMY OF NEUROLOGY Los Angeles, USA, 2018.
- 188 Rizzo F., Nizzardo M., Vashisht S., Melzi V., Faravelli I., Salani S., Bucchia M., Taiana M., Bordoni A., Bresolin N., Pozzoli U., Comi G., **Corti S.** A Subset of Axonal and Synaptic Genes with Altered Expression/Splicing in SMA-MNs Harbours a Common Motif that Interacts with SMN/SYNCRIP Complex AMERICAN ACADEMY OF NEUROLOGY Los Angeles, USA, 2018.
- 189 Nizzardo M., Rizzo F., Taiana M., Aguila Benitez J., Nijssen J., Allodi I., Bresolin N., Comi G.P., Hedlund E., **Corti S.** Synaptotagmin 13 protects motor neurons from degeneration in ALS and SMA, 29th International Symposium on ALS/MND, 2018
- 190 Taiana M., Bersani M., Nizzardo M., Kizilirmak C., Rinchetti P., Barabino S., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.** C9-ALS patient specific iPSC-derived lines as in vitro model to study pathogenesis and to test Morpholino oligomers efficacy. 29th International Symposium on ALS/MND, 2018
- 191 Bono S, Forotti G, Nizzardo M, Bucchia M, Ramirez A, Bresolin N, Comi G, **Corti S.** A specific iPSC-derived neural stem cell subpopulation improves the pathology of a mouse model of Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress Type 1. 6th Cambridge International Stem Cell Symposium, Cambridge, UK, 2018
- 192 Rizzuti M., Bersani M., Ramirez A., Bordoni A., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.**, Nizzardo M. Cell Penetrating Peptide-Morpholino conjugates as novel treatment for Spinal Muscular Atrophy. 22rd International SMA Researcher Meeting, Dallas, TX, 2018
- 193 Rizzuti M., Nizzardo M., Melzi V., Filosa G., Calandriello L., Locatelli M., Dioni L., Bresolin N., Comi G.P., Barabino S., **Corti S.** microRNAs analysis of patient-derived iPSCs and motor neurons for the development of a molecular therapy for ALS. ENCALS meeting 2018 Oxford, England.
- 194 Rizzo F., Nizzardo M., Vashisht S., Molteni E., Melzi V., Faravelli I., Salani S., Bucchia M., Taiana M., Bordoni A., Bresolin N., Comi G.P., Pozzoli U., **Corti S.** Key role of SMN/SYNCRIP and RNA-motif 7 in Spinal Muscular Atrophy (SMA): RNASeq and motif Analysis of human motor neurons. SFN 2018, 2018, San Diego, CA.
- 195 Rinchetti P., Faravelli I., Mapelli L., Tamanini S., Cordiglieri C., Rizzuti M., Forotti G., Bresolin N., Comi G.P., Nizzardo M., **Corti S.** Development of central nervous system 3D in vitro models to study molecular mechanisms and develop therapeutic strategies for motor neuron diseases. Neuroscience 2018, San Diego, CA

Paola Corti

- 196 Nizzardo M., Rizzo F., Taiana M., Allodi I., Aguila Benitez J., Nijssen J., Melzi V., Del Bo R., Bresolin N., Comi GP., Hedlund E, **Corti S.** Oculomotor restricted protein Synaptotagmin 13 protects motor neurons from degeneration in ALS. ENCALS meeting 2018 Oxford, England.
- 197 Bersani M., Nizzardo M., Rizzo F., Taiana M., Rinchetti P., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.** Characterization of C9ORF72 patient specific iPSC-derived lines: new ALS in vitro models for the development of therapeutic strategies. Neuronext 2018, Milano
- 198 Rizzo F, Bono S, Salani S, Bordoni A, Melzi V, Ruepp M, Pagliarani S, Barbullushi K, Abati E, Cordiglieri C, Bresolin N, Comi GP, Nizzardo, M, **Corti S.** RNAi/gene therapy combined approach as therapeutic strategy for Charcot-Marie-Tooth 2°. AAN 2019
- 199 Forotti G, Nizzardo M, Taiana M, Bucchia M, Ramirez A, Bresolin N, Comi G, **Corti S.** The Transplantation of a Specific iPSC-Derived Neural Stem Cells Subpopulation Improves the Pathological Hallmarks of Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress Type 1 in Mice. AAN 2019
- 200 Abati E, Rizzo F, Bono S, Salani S, Bordoni A, Melzi V, Ruepp MD, Pagliarani S, Barbullushi K., Cordiglieri C., Bresolin N., Comi G., Nizzardo M., **Corti S.** Evaluation of RNA interference/gene therapy combination as potential therapeutic approach for Charcot-Marie-Tooth 2. EAN2019
- 201 Muntoni F, Baranello G, Bruno C, **Corti S**, Masson R, Straub V, Vita G, Kernbauer E, Webb A, Ouyang H, Feltner DE, Meriggioli M, Lavrov A, L'Italien J, Sproule DM, Mercuri E. Study Design of STRIVE-EU, a Phase 3 Trial of AVXS-101 Gene-Replacement Therapy in Patients with Spinal Muscular Atrophy Type 1 in Europe, EAN 2019
- 202 Biella F, Taiana M, Bersani M, Nizzardo M, Rizzuti M, Rocha Levone B, Bresolin N, Comi GP, Barabino S, **Corti S.** Investigation of molecular pathological hallmarks and therapeutic strategies in C9orf72 human lines. ENCALS 2019
- 203 Faravelli I, Rinchetti P, Forotti G, Mapelli L, Rizzuti M, Cordiglieri C, Calandriello L, Tamanini S, Bresolin N, Comi GP, Nizzardo M, **Corti S.** Human 3D cell culture systems to model and investigate Spinal Muscular Atrophy pathology 1. CureSMA Los Angeles 2019
- 204 Rizzuti M, Bersani M, Ramirez A, Bordoni A, Taiana M, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**, Nizzardo M. Cell Penetrating Peptides-conjugated Morpholino: an improved and promising treatment for symptomatic SMA cases. CureSMA Los Angeles 2019
- 205 **Corti S**, Faravelli I, Rinchetti P, Mancinelli S, Mapelli L, Forotti G, Rizzuti M., Cordiglieri C, Calandirello L, Tamanini S, Bresolin N, Comi GP, Lodato S, Nizzardo M. Human 3D cell culture systems to model and elucidate spinal muscular atrophy pathology and treatment. SFN 2019
- 206 Comi GP, Taiana M., Bersani M, Biella F., Nizzardo M., Kizilirmak C., Rinchetti P. Barabino S., Bresoolin N. **Corti S.** Morpholino oligomers ameliorate pathological phenotype in C9orf72 ALS iPSC-derived lines. SFN 2019.

Paola Corti

- 207 Mercuri E, Aurore D, Baranello G, Boespflug-Tanguy O, Bruno C, **Corti S**, Chiriboga CA, Crawford TO, Darras BT, Day JW, Deconinck N, Finkel RS, Connolly AM, Iannaccone ST, Kuntz NL, Masson R, Peña LDM, Schultz M, Servais L, Shieh PB, Smith EC, Saito K, Scoto MSK, Straub V, Feltner DE, Tausher-Wisniewski S, Ogrinc F, Ouyang H, Menier M, Lavrov A, Macek T, Kernbauer E, Berkhout H, Thomasma P, Sproule DM, Mendell JR, Muntoni F. Onasemnogene abeparvovec gene replacement therapy for Spinal Muscular Atrophy Type 1 (SMA1): Global Pivotal Phase 3 Study Program (STRIVE-US, STRIVE-EU, STRIVE-AP). EPNS 2019 European Paediatric Neurology Society - 13th Congress Sep 17, 2019 - Sep 21, 2019 Athens, Greece
- 208 Muntoni F, Baranello G, Bruno C, **Corti S**, Masson R, Straub V, Vita G, Ernst U, Kernbauer E, Williamson S, Ouyang H, Feltner DE, Meriggioli M, Lavrov A, L'Italiani J, Sproule DM, Mercuri E. Study Design of STRIVE-EU, a Phase 3 Trial of AVXS-101 Gene-Replacement Therapy (GRT) in Patients With Spinal Muscular Atrophy Type 1 (SMA1) in Europe DGKJ 2019: Deutschen Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin - 115 Jahrestagung (Sep 11-14, 2019; Munich Germany
- 209 Mercuri E, Aurore D, Baranello G, Boespflug-Tanguy O, Bruno C, **Corti S**, Chiriboga CA, Crawford TO, Darras BT, Day JW, Deconinck N, Finkel RS, Connolly AM, Iannaccone ST, Kuntz NL, Masson R, Peña LDM, Schultz M, Servais L, Shieh PB, Smith EC, Scoto MSK, Straub V, Feltner DE, Tausher-Wisniewski S, Ogrinc F, Ouyang H, Menier M, Lavrov A, Macek T, Kernbauer E, Berkhout H, Thomasma P, Sproule DM, Mendell JR, Muntoni F. Onasemnogene Abeparvovec Gene-Replacement Therapy for Spinal Muscular Atrophy Type 1: Pivotal Studies Clinical Update (STRIVE-EU and STRIVE). SINP-Napoli 2019 Nov 28-30, 2019 Naples, Italy
- 210 Mercuri E, Baranello G, Boespflug-Tanguy O, Bruno C, Chiriboga CA, Connolly AM, **Corti S**, Crawford TO, Darras BT, Darras BT, Day JW, Deconinck N, Finkel RS, Iannaccone ST, Kuntz NL, Kwon J, Masson R, Peña LDM, Scoto MSK, Servais L, Shieh PB, Smith EC, Straub V, Zaidaman C, Schultz M, Feltner DE, Tausher-Wisniewski S, Ogrinc F, Ouyang H, Menier M, Lavrov A, Macek T, Kernbauer E, Berkhout H, Thomasma P, Sproule DM, Mendell JR, Muntoni F. Onasemnogene Abeparvovec Gene Therapy for Spinal Muscular Atrophy Type 1: Pivotal Studies Clinical Update (STRIVE-US and STRIVE-EU). JSFM 2019: Societe Francaise de Myologie - XVII Journee Nov 20, 2019 - Nov 22, 2019 Marseille, France
- 211 Mercuri E, Aurore D, Baranello G, Boespflug-Tanguy O, Bruno C, **Corti S**, Chiriboga CA, Crawford TO, Darras BT, Day JW, Deconinck N, Finkel RS, Connolly AM, Iannaccone ST, Kuntz NL, Masson R, Peña LDM, Schultz M, Servais L, Shieh PB, Smith EC, Scoto MSK, Straub V, Feltner DE, Tausher-Wisniewski S, Ogrinc F, Ouyang H, Menier M, Lavrov A, Macek T, Kernbauer E, Berkhout H, Thomasma P, Sproule DM, Mendell JR, Muntoni F. Onasemnogene Abeparvovec Gene-Replacement Therapy for Spinal Muscular Atrophy Type 1: Pivotal Studies Clinical Update (STRIVE-EU and STRIVE US, STRIVE AP). WCN 2019: World Congress of Neurology - 24th, Oct 27-31, Dubai, United Arab Emirates
- 212 Mercuri E, Baranello G, Day JW, Bruno C, **Corti S**, Chiriboga CA, Crawford TO, Darras BT, Finkel RS, Connolly AM, Iannaccone ST, Kuntz NL, Masson R, Pena LDM, Shieh PB, Smith EC, Saito K, Scoto M, Loukes J, Shultz M, Feltner DE, Ouyang H, Lavrov A, Kernbauer E,

Paola Corti

Williamson S, Sproule DM, Mendell JR, Muntoni F. Onasemnogene Apeparvovec Gene Replacement Therapy (GRT) for Spinal Muscular Atrophy Type 1 (SMA1): Pivotal Phase 3 Studies Clinical Update (STRIVE-EU and STRIVE-US) BPNA 2020: British Paediatric Neurology Association - 46th Annual Conference Jan 29-31, 2020 Belfast Ireland.

- 213 Mercuri E, Baranello G, Bruno C, Chiriboga CA, Connolly AM, **Corti S**, Crawford TO, Darras BT, Day JW, Finkel RS, Iannaccone ST, Kuntz NL, Masson R, Pena LDM, Scoto M, Servais L, Shieh PS, Smith EC, Benguerba K, Shultz M, Feltner DE, Tausher-Wisniewski S, Ogrinc H, Menier M, Lavrov A, Macek T, Kernbauer E, Berkhout H, Sproule DM, Mendell JR, Muntoni F. Onasemnogene Apeparvovec Gene Replacement Therapy (GRT) for Spinal Muscular Atrophy Type 1 (SMA1): Pivotal Phase 3 Studies Clinical Update (STRIVE-EU and STRIVE-US). SFNP 2020, January 15–17, 2020, Toulouse, France
- 214 Mercuri E, Aurore D, Baranello G, Boespflug-Tanguy O, Bruno C, **Corti S**, Chiriboga CA, Crawford TO, Darras BT, Day JW, Deconinck N, Finkel RS, Connolly AM, Iannaccone ST, Kuntz NL, Masson R, Peña LDM, Schultz M, Servais L, Shieh PB, Smith EC, Scoto MSK, Straub V, Feltner DE, Tausher-Wisniewski S, Ogrinc F, Ouyang H, Menier M, Lavrov A, Macek T, Kernbauer E, Berkhout H, Thomas P, Sproule DM, Mendell JR, Muntoni F. Onasemnogene Apeparvovec Gene-Replacement Therapy for Spinal Muscular Atrophy Type 1: Pivotal Studies Clinical Update (STRIVE-EU and STRIVE). SMA-EU 2020: SMA Europe - 2nd International Scientific Congress on Spinal Muscular Atrophy Feb 05, 2020 - Feb 07, 2020 Paris, France.

Lavori pubblicati come Abstract a congressi nazionali:

- 1 D'Angelo M.G., Ausenda C.D., Nesti S., Bordoni A., Del Bo R., Torrente Y., Perini M.P., **Corti S.**, Radaelli S., Bresolin N. and Scarlato G.: Transfected myoblasts treated with 5-AZA-cytidine show an enhanced expression of the exogenous gene. *Clinical Neuropathology*, May/June 1996; volume 15: 169
- 2 Baldessari S., Ausenda C.D., D'Angelo M.G., Sironi M., Ciscato P., Perini M.P., **Corti S.**, Comi G.P., Moggio M., Bresolin N., Scarlato G. Towards the development of a gene therapy for mitochondrial diseases. 33rd Annual Meeting of the Italian Neuropathological Association. Pisa, June 1997 *Clinical Neuropathology*, vol:16, 148, 1997
- 3 Robotti M., Olivieri F.M., Bardoni A., **Corti S.**, Martinelli S., Bresolin N. and Scarlato G. Reversible limb-girdle myopathy in young male with hypophosphatemic osteomalacia. 33rd Annual Meeting of the Italian Neuropathological Association. Pisa, June 1997 *Clinical Neuropathology*, vol 16, 165, 1997
- 4 Torrente Y., Bresolin N., Ausenda C.D., De Liso A., D'Angelo M.G., Casati R., Benti S., **Corti S.**, Comi G., Scarlato G. Extracorporeal circulation of myogenic cells opens new perspectives in DMD gene therapy. 33rd Annual Meeting of the Italian Neuropathological Association. Pisa, June 1997 *Clinical Neuropathology*, 16, 171, 1997
- 5 **Corti S.**, Bordoni A., Comi G.P., Bresolin N., Toscano A., Agennouz M., Tancredi L., Moggio M., Scarlato G. Mutation analysis of carnitine palmytoiltransferase (CPT) II gene in patients with decreased muscle CPT activity. 34th Annual Meeting of the Italian Neuropathological Association, Bosisio Parini, 1-3 June 1998 *Clinical Neuropathology*, 17, 151, 1998
- 6 **Corti S.**, D'Angelo M.G., Colucci M., Torrente Y., Larovere A., Perini M.P., Salani S., Sironi M., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G. Myoblast transendothelial migration: an in vitro assay. 34th Annual Meeting of the Italian Neuropathological Association, Bosisio Parini, 1-3 June 1998 *Clinical Neuropathology*, 17, 151, 1998
- 7 D'Angelo M.G., Torrente Y., **Corti S.**, Colucci M., Del Bo R., Basso V., Strazzer S., DeLiso A., Comi G.P., Bresolin N., Scarlato G. The myogenic potential of somite-derived cell lines: new perspectives in myoblast mediated gene therapy of Duchenne Muscular Dystrophy. 34^o Annual Meeting of the Italian Neuropathological Association, Bosisio Parini, 1-3 giugno 1998. *Clinical Neuropathology*, vol.17, No.3, pp.152, 1998
- 8 **Corti S.**, Paganoni S., Salani S., Del Bo R., Torrente Y., Comi G.P., Scarlato G. Expression of T-antigen in human myoblasts results in inhibition of terminal differentiation and apoptosis. 35^o Annual Meeting of the Italian Association of Neuropathology, Lipari, 27-29 maggio 1999. *Clinical Neuropathology*, vol.18, No.3, pp.133, 1999
- 9 **Corti S.**, Martinuzzi A., Comi G.P., Locatelli F., Salani S., Fortunato F., Angelini C., Bresolin N., Scarlato G. Analysis of dystrophin expression in aminoglycoside-treated myotubes of Duchenne muscular dystrophy patients. 36th Meeting of the Italian Association of Neuropathology.

Clinical Neuropathology, 19, 149, 2000

- 10 Torrente Y., Fagiolari G., Gallanti A., Lamperti C., Salani S., Pisati F., **Corti S.**, Comi G.P., Moggio M., Bresolin N., Scarlato G. Apoptosis in myoblast transplantation. 36th Meeting of the Italian Association of Neuropathology. *Clinical Neuropathology*, 19, 160, 2000
- 11 **Corti S.**, Strazzer S., Comi G.P., Del Bo R., Salani S., Fortunato F., Bresolin N., and Scarlato G. Muscle-specific genes are expressed in a fraction of mouse bone marrow cells. 37^o Annual Meeting of the Italian Association of Neuropathology, Verbania, 24-26 maggio 2001. *Clinical Neuropathology*, vol. 20, No.3, pp.118, 2001.
- 12 Comi G.P., **Corti S.**, Strazzer S., Del Bo R., Bossolasco P., Locatelli F., Soligo D., Scarlato S., Corti S., Salani S., Del Bo R. Torrente Y., Strazzer S., Belicchi M., Paganoni S., Li Z., Bresolin N. Can hematopoietic stem cells cure neuromuscular diseases? Fondazione Matarelli Educational Symposium "Hematopoietic stem cell therapy: the basic questions" Milano, 1 Febbraio 2002.
- 13 Cagliani R., Gallanti A., Sironi M., Ciscato V., Cardin S. Bonato, Galbiati S., Chiveri L., **Corti S.**, Prella A., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. A novel autosomal dominant CAV3 gene mutation results in both RMD and LGMD in the same family. Associazione Italiana di Miologia, Torino 14-15 Giugno 2002. *Basic and Applied Myology (BAM)* Vol. 12: p.122, 2002.
- 14 Soligo D., Bossolasco P., **Corti S.**, Strazzer S., Comi G., Quirici N., Salani S., Del Bo R., Locatelli F., Lambertenghi-Delilieri G. "In vitro" differentiation of muscle cells from non-adherent murine and bone marrow fractions. Congresso Società Italiana di Ematologia, Firenze 7 Giugno 2001, *Haematologica*, Vol 86 pag125, 2001
- 15 Bossolasco P., Soligo D., **Corti S.**, Strazzer S., Borsotti C., DelBo R., Fortunato F., Salani S., Quirici N., Bertolini F., Comi G.P., Lambertenghi Delilieri G. In vitro and in vivo myogenic conversion of human adult bone marrow cells. 39^o Congresso Nazionale Società Italiana di Ematologia, Roma, 26-29 ottobre 2003. *Haematologica*
- 16 Sciacco M., Gallanti A., Prella A., Fagiolari G., Ciscato P., Serafini M., Livraghi S., Napoli L., Lamperti C., D'Adda E., Zecca C., Fruguglietti M.E., Lucchini V., Comi G.P, Bordoni A., Fortunato F., Torrente Y., Galbiati S., Locatelli F., **Corti S.**, Del Bo R., Crimi M., Lucchiari S., Salani S., Grimoldi N., Tiberio F., Silvani E., Bresolin N., Moggio M. Bank of DNA, cell lines and nerve-muscle-cardiac tissues. Atti "Scientific Convention Telethon", pag. 375; Riva del Garda, 23-25 novembre 2003
- 17 Bordoni A., Di Fonzo A., Rodolico C., **Corti S.**, Aguenouz M., Mongini T., Toscano A., Giacomo P., Comi G.P. Genetic testing expands the molecular heterogeneity of Carnitine Palmitoyl-Transferase deficiency. IV Congresso della Associazione Italiana di Miologia 6-8 Maggio 2004, Taormina. *Basic and Applied Myology (BAM)*
- 18 Ghezzi S., Del Bo R., Scarlato M., **Corti S.**, Prella A., Bresolin N., Comi G.P. Fattori di rischio nella Sclerosi Laterale Amiotrofica Sporadica: VEGF e MCP1. "Biofutura 2005", Bologna, 8-10 aprile 2005. Atti pp. 33, 2005

- 19 Del Bo R., Ghezzi S., Locatelli F., Scarlato M., **Corti S.**, Prella A., Fagiolari G., Ripolone M., Moggio M., Carpo M., Bresolin N., Comi G.P. Novel Missense GARS gene mutation in an Italian family with hereditary distal motor neuropathy. 2005 Meeting of the Peripheral Nerve Society, Il Ciocco – Tuscany, 9-13 luglio 2005. *Journal of the Peripheral Nervous System*, vol.10, Suppl. 1, pp. 19, 2005
- 20 Locatelli F., **Corti S.**, Papadimitriou D., Donadoni C., Crimi M., Del Bo R., Bordoni A., Strazzer S., Salani S., Bresolin N., Comi G.P. ALDH neuronal stem cells generate motor neurons and ameliorate the phenotype of NMD mice, an animal model of SMARD1. *XXXVI Congress of the Italian Neurological Society*, Cernobbio (CO), 8-12 ottobre 2005. *Neurological Sciences*, vol. 26, supplemento, pp S201, 2005 (2005: 0.779; 2007: 1.006)
- 21 Del Bo R., Bonato S., Rossetti G., Ghezzi S., **Corti S.**, Bresolin N., Carnelli V., Comi G.P. A novel missense mutation of IGHMBP2 gene in an Italian infant with spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1. *XXXVI Congress of the Italian Neurological Society*, Cernobbio (CO), 8-12 ottobre 2005. *Neurological Sciences*, vol. 26, supplemento, pp S340 2005
- 22 **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D., Del Bo R., Nardini M., Salani S., Nizzardo M., Sardanù G., Strazzer S., Bresolin N., Comi G.P. Transplantation of LeX+/CXCR4+ Adult Neural Stem Cells delays disease progression of SOD1 mice an animal model of Amyotrophic Lateral Sclerosis. 42° Annual Meeting of the Italian Association of Neuropathology, Roma, 24-27 maggio 2006. *Clinical Neuropathology*, vol. 25, No.3, pp.140-141, 2006
- 23 Del Bo R., Ghezzi M., Scarlato M., **Corti S.**, Locatelli F., Santoro D., Prella A., Briani C., Nardini M., Siciliano G., Mancuso M., Murri L., Bresolin N., Comi G.P. Lack of Association between angiogenin and VEGF gene variation and ALS in Italian patients. 42° Annual Meeting of the Italian Association of Neuropathology, Roma, 24-27 maggio 2006. *Clinical Neuropathology*, vol. 25, No.3, pp.142, 2006
- 24 Locatelli F., **Corti S.**, Papadimitriou D., Donadoni C., Salani S., Del Bo R., Fortunato F., Strazzer S., Nizzardo M., Nardini M., Bresolin N., Comi G.P. Si-Rna silencing interferes on motor neuron degeneration of SOD1 G93A ALS mouse model. *XXXVII Congress of the Italian Neurological Society*, Bari, 14-18 ottobre 2006. *Neurological Sciences*, vol. 27, supplemento, pp S220, 2006
- 25 Papadimitriou D., **Corti S.**, Locatelli F., Donadoni C., Salani S., Del Bo R., Strazzer S., Nizzardo M., Nardini M., Bresolin N., Comi G.P. Neural stem cell population deriving from SOX2-dependent dedifferentiated human astrocytes as possible cell source for cell mediated therapy in neurodegenerative diseases. *XXXVII Congress of the Italian Neurological Society*, Bari, 14-18 ottobre 2006. *Neurological Sciences*, vol. 27, supplemento, pp S220, 2006
- 26 **Corti S.**, Bordoni A., **Ronchi D.**, Santoro A, Papadimitriou D, Lamperti C, Lucchini V, Magri M, Guglieri M, Crugnola V, Moggio M, Bresolin N, Comi GP. Novel SOD1 Q23R mutation associated with muscle mitochondrial dysfunction in familial ALS. *Mutant SOD1 and familial ALS: from the molecule to man, Milan, September 13-16 2006. Atti.*
- 27 Comi G.P., **Corti S.**, Locatelli F., Papadimitriou D., Del Bo R., Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Fortunato F., Strazzer S., Bresolin N. Development of cellular and molecular

therapeutic approaches for spinal muscular atrophy with respiratory distress (SMARD1). Telethon Scientific Convention, Salsomaggiore Terme, 12-14 marzo 2007. Atti, pp: 134

- 28 Ghezzi S., Del Bo R., **Corti S.**, Santoro D., Prella A., Nardini M., Siciliano G., Mancuso M., Murri L., Bresolin N., Comi G.P. Absence of association between erythropoietin gene variation and ALS in sporadic Italian patients. III Meeting on the Molecular Mechanisms of Neurodegeneration, Milano, 19-21 maggio, 2007. Atti, poster 8
- 29 Ronchi D., **Corti S.**, Bordoni A., Santoro A., Papadimitriou D., Lamperti C., Lucchini V., Magri M., Guglieri M., Crugnola V., Moggio M., Bresolin N., Comi GP. Novel Q23R SOD1 mutation associated with muscle mitochondrial dysfunction. III Meeting on Molecular Mechanism of Neurodegeneration, Milan, May 19-21 2007, Atti
- 30 Ghezzi S., Del Bo R., Bersano A., Lamperti A., Bresolin N., Napoli L., Moggio M., Candelise L., Comi G.P., **Corti S.** Clinical and pathological aspects of an Italian patient with inclusion body myopathy and frontotemporal dementia carrying a novel mutation in valosin-containing protein gene. Atti "11° Riunione Scientifica Convegno Annuale Italian Interdisciplinary Network on Alzheimer Disease"; pag. 46, Olbia, 4-6 ottobre 2007
- 31 Lucchiari S., **Corti S.**, Pagliarani S., Servida M., Fruguglietti E., Moggio M., Bresolin N., Comi, G.P. Myotonic dystrophy type 2: clinical, neurophysiological and muscular features of a family with short CCTG expansion. 6th International Myotonic Dystrophy Consortium Meeting, September 12-15, 2007, Milan, Italy. Atti. Pg. 39
- 32 **Corti S.**, Bordoni A., Ronchi D., Santoro D., Salani S., Donadoni C., Lamperti C., Lucchini V., Crugnola V., Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. Novel SOD1 Q23R mutation associated with muscle mitochondrial dysfunction in familial ALS International Meeting "Mutant SOD1 and familial ALS: from the molecule to man" Milano, September 13-16, 2007. Abstract book
- 33 Cagliani R., **Corti S.**, Pozzoli U., Bordoni A., Comi G.P., Bresolin N., Sironi M. A yeast system to study human sequence motifs promoting recombination: a role for the CCTCCCT heptamer X Congresso SIGU, 14-17 Novembre 2007, Montecatini
- 34 Lucchiari S., Pagliarani S., **Corti S.**, Servida M., Fruguglietti E., Moggio M., Bresolin N., Comi, G.P. Myotonic dystrophy type 2: A XL-PCR method to detect a broad range of expanded ZNF9 alleles. X Congresso SIGU, 14-17 Novembre 2007, Montecatini
- 35 Pagliarani S., Lucchiari S., **Corti S.**, D'Angelo M.G., Magri F., Raimondi M., Carpo M., Bresolin N., Comi G.P. Caratterizzazione molecolare dei geni CLCN1, SCN4A, KCNJ2, CACNA1S in pazienti con canalopatie muscolari. 8° Congresso Nazionale Associazione Italiana di Miologia, Pisa, 5-7 giugno 2008 Basic and Applied Myology, 18 (4): 132, 2008
- 36 Nardini M., Nizzardo M., Donadoni C., Fortunato F., Bresolin N., Comi GP., **Corti S.** La somministrazione di ceftriaxone migliora il fenotipo di un modello murino di Atrofia Muscolare Spinale. 8° Congresso Nazionale Associazione Italiana di Miologia Pisa, 5-7 giugno 2008, Basic and Applied Myology, 18 (4): 131, 2008

Paola Corti

- 37 Nizzardo M., **Corti S.**, Nardini M., Donadoni C., Fortunato F., Bresolin N., Comi G.P. Trapianto di cellule staminali neuronali derivate da staminali embrionali (ES) come possibile strategia terapeutica per l'Atrofia Muscolare Spinale 8° Congresso Nazionale Associazione Italiana di Miologia, Pisa, 5-7 giugno 2008, *Basic and Applied Myology*, 18 (4): 132, 2008
- 38 Magri F, Virgilio R, Del Bo R, Ghezzi S, Tedeschi S, D'Angelo MG, Coviello D, Prella A, Bordoni A, Sciacco M, Lamperti C, **Corti S**, Torrente Y, Moggio M, Bresolin N, Comi GP Stop codons, duplicazioni e delezioni: caratterizzazione genetica e follow-up clinico in una coorte di 201 pazienti affetti da DMD, Associazione Italiana di Miologia, Pisa, 5-7 giugno 2008, *Basic and Applied Myology*, 18 (4): 127, 2008
- 39 Ghezzi S., **Corti S.**, Santoro D., Briani C., Mancuso M., Siciliano G., Bresolin N., Comi G. P., Del Bo R. Progranulin genetic variability is not associated to sporadic Amyotrophic Lateral Sclerosis in Italian patients. Atti, 5th Meeting on molecular mechanisms in Neuroscience. Milano, 19-20 giugno 2008
- 40 Lucchiari S, Pagliarani S, **Corti S**, D'Angelo MG, Magri F, Raimondi M, Carpo M, Bresolin N, Comi GP. Molecular characterization of CLCN1, SCN4A, KCNJ2, CACNA1S genes in patients with muscle channelopathies. 5th Meeting of Molecular Mechanisms in Neuroscience, Milan, 19-20 Giugno 2008
- 41 Nizzardo M., **Corti S**, Nardini M., Donadoni C., Fortunato F., Saladino F, Bresolin N., Comi GP. "Transplantation of Neural Stem Cells derived from Murine Embryonic (mES) Ameliorates Spinal Muscular Atrophy Phenotype". 5th Molecular Mechanisms in Neuroscience, University of Milan, Italy, 19-20 June 2008
- 42 Nardini M., Nizzardo M., Donadoni C., Fortunato F., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S**. "Ceftriaxone treatment improves phenotype in a murine model of spinal muscular". 5th *Molecular Mechanisms in Neuroscience*, University of Milan, Italy, 19-20 June 2008
- 43 Ghezzi S., Del Bo R., Scarlato M., Fenoglio C., Nardini M., Santoro D., Prella A., Galimberti D., Scarpini E., Forloni G., Bresolin N., **Corti S.**, Comi G.P. Ruolo del VEGF nella neurodegenerazione e nell'invecchiamento. Atti, II Convegno dei Biotecnologi. Torino, 29 febbraio–1 marzo 2008
- 44 Nizzardo M., **Corti S.**, Nardini M., Donadoni C., Salani S., Locatelli F., Papadimitriou D., Comi GP. "Cellule staminali neuronali derivate da staminali embrionali murine migliorano il fenotipo di un modello murino di Atrofia Spinale Muscolare (SMA)". 2° Congresso dei Biotecnologi-Sezione Piemonte, Torino 2008. 28 Febbraio-1 Marzo 2008
- 45 Simone C., Corti S., Nizzardo M., Salani S., Nardini M., Donadoni C., Ronchi D., Falcone M., Bresolin N., Comi G.P. "Neural stem cells derived from genetically engineered, lineage-selectable Es cells improves the phenotype of a mouse model of spinal muscular atrophy". *IV Meeting on the Molecular Mechanism of Neurodegeneration*, Milano, 8-10 May 2009
- 46 Ronchi D., Nizzardo M., Nardini M., Salani S., Simone C., Falcone M., Donadoni C., Bresolin N., Comi G.P. and **Corti S.** "Ceftriaxone treatment improves phenotype in a murine model of

spinal muscular atrophy". *IV Meeting on the Molecular Mechanism of Neurodegeneration*, Milano, 8-10 May 2009

- 47 Del Bo R., Ghezzi S., **Corti S.**, Santoro D., Briani C., Mancuso M., Siciliano G., Fenoglio C., Galimberti D., Scarpini E., Bresolin N., Comi G.P. Progranulin genotyping in 237 sporadic amyotrophic lateral sclerosis patients. "12° Riunione Scientifica Convegno Annuale Italian Interdisciplinary Network on Alzheimer Disease"; Milano 9 gennaio 2009. Atti pag. 20
- 48 Nizzardo M., **Corti S.**, Nardini M., Donadoni C., Salani S., Ronchi D., Del Bo R., Papadimitriou D., Locatelli F., Bresolin N., Comi G.P. Motoneuron transplantation rescue the phenotype of spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1 (SMARD1). *IV Meeting on the molecular mechanisms of neurodegeneration*, Milano, 8-10 maggio 2009. Atti (abstract P114)
- 49 Ronchi D, Ghezzi S, Nizzardo M, Nardini M, Donadoni C, Fortunato F, Salani S, Colciago G, Bordoni A, Bresolin N, Comi GP, **Corti S.** Miglioramento del fenotipo in un modello murino di SMA in seguito a trattamento con ceftriaxone. [COMUNICAZIONE ORALE] *Convegno Nazionale dell'Associazione Nazionale Biotecnologi Italiani, Siena 06-07 marzo 2009. Atti.*
- 50 **Corti S.**, Nizzardo M., Nardini M., Donadoni C., Salani S., Simone C., Falcone M., Mezzina N., Gianni F., Riboldi G., Bresolin N., and Comi G.P. "Systemic transplantation of c-kit⁺ cells exerts a therapeutic effect in a model of Amyotrophic Lateral Sclerosis". 2010 AIM Conference, Milan, Italy, 3-5 June 2010. *Acta Myologica*
- 51 Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Donadoni C., Nardini M., Salani S., Magri F., Riboldi G., Del Bo R., **Corti S.**, Comi GP. Development of a therapeutic approach for Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress (SMARD1) using human induced pluripotent stem cell-derived neural stem cells and motor neurons. *XVI convegno Telethon, Riva del Garda, Italy, March 7-9 2011.*
- 52 Simone C., Falcone M., Ronchi D., Riboldi G., Menozzi G., Bonaglia C., Nizzardo M., Riboldi G., Bresolin N., **Corti S.** Neuroprotection in Spinal Muscular Atrophy (SMA) using neural stem cell as teherapeutic approach. *XVI convegno Telethon, Riva del Garda, Italy, March 7-9 2011.*
- 53 Falcone M, Rizzo F, Nizzardo M, Simone C, Ronchi D, Donadoni C, Salani S, Ulzi G, Riboldi G, Bresolin N and **Corti S.** "Neuroprotection in Spinal Muscular Atrophy (SMA) using neural stem cell as teherapeutic approach". *V Meeting on the Molecular Mechanism of Neurodegeneration, Milan, May 13-15, 2011*
- 54 **Corti S.**, Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Salani S., Donadoni C., Nardini M., Riboldi G., Menozzi G., Bonaglia C., Rizzo F., Bresolin N., Comi G.P., Motoneurons from Spinal Muscular Atrophy-Induced Pluripotent Stem Cells for disease modeling and cell therapy *11 Congresso Nazionale Associazione Italiana di Miologia 26-28 Maggio 2011, Acta Myologica*
- 55 Ripolone M, Fagiolari G, Vallejo D, Ronchi D, Lucchini V, Violano R, Bordoni A, Lamperti C, Villa L, **Corti S.**, Balottin U, Bresolin N, Comi G, Sciacco M, Berardinelli A, Moggio M. Oxidative defects at muscle histochemistry in 15 genetically-determined SMA cases. *12°*

Congresso Nazionale Associazione Italiana di Miologia 17-19 Maggio 2012, Acta Myologica

- 56 **Corti S.** Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Nardini M., Ronchi D., Donadoni C., Salani S., Riboldi G., Menozzi G., Bonaglia C., Rizzo F., Magri F., Bresolin N., Comi GP. Targeted gene correction of Spinal Muscular Atrophy induced pluripotent stem cells and motoneurons as cell source for therapy. 12° Congresso Nazionale Associazione Italiana di Miologia 17-19 Maggio 2012, Acta Myologica
- 57 **Corti S.**, Nizzardo M., Simone C., Rizzo F., Salani S., Ruggieri M., Bresolin N., Comi G. Transplantation of neural stem cells derived from induced pluripotent stem cells improves Amyotrophic Lateral Sclerosis phenotype in mice. XLIII Congresso della Società Italiana di Neurologia, Rimini 2012; *Neurological Sciences*
- 58 Nizzardo M., Simone C., Falcone M., Rizzo F., Salani S., Faravelli I., Zanetta C., Ruggieri M., Bresolin N., Comi G., **Corti S.** Treatment with unmodified and octa-guanidine-conjugate morpholino oligomers rescues spinal muscular atrophy in mice. XLIII Congresso della Società Italiana di Neurologia, Rimini 2012; *Neurological Sciences*
- 59 Gellera C, Tiloca C, Del Bo R, Corrado L, Pensato V, Agostini, Cereda C, Ratti A, Castellotti B, **Corti S**, Bagarotti A, Cagnin A., Milani P., Gabelli C, Riboldi G, Mazzini L, Soraru G, D'Alfonso S, Taroni F, Comi GP, Ticozzi N, Silani V. Ubiquitin 2 mutations in italian patients with amyotrophic lateral sclerosis and frontotemporal dementia, Congresso della Società Italiana di Neurologia, Rimini 2012; *Neurological Sciences*
- 60 **Corti S**, Nizzardo M, Simone C, Rizzo F, Ruggieri M, Salani S, Brajkovic S, Bresolin N, Comi GP. Transplantation of iPS derived neural stem cells in a mouse model of Amyotrophic Lateral Sclerosis, Convegno ARISLA 2012
- 61 Simone C., Nizzardo M., Ronchi D., Salani S., Riboldi G., Magri F., Faravelli I., Zanetta C., Menozzi G., Bonaglia C., Bresolin N., Comi G., **Corti S.** Neuroprotection in Spinal Muscular Atrophy (SMA) using neural stem cells as therapeutic approach. Convention Telethon 2013
- 62 Nizzardo M., Simone C., Rizzo F., Ruggieri M., Salani S., Brajkovic S., Bresolin N., **Corti S.** Comi GP. Development of a therapeutic approach for Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress (SMARD1) using human induced pluripotent stem cell-derived neural stem cells and motor neurons, Convention Telethon 2013
- 63 Rizzo F, Ruggieri M, Nizzardo M, Simone C, Salani S, Faravelli I, Zanetta C, Brajkovic S, Riboldi G, Bresolin N, Comi GP, **Corti S.** Amelioration of Amyotrophic Lateral Sclerosis phenotype in mouse model by iPS derived neural stem cells transplantation 13° Congresso Nazionale AIM 2013. *XIII Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, May 16-18 2013 *Acta myologica*, vol. XXXII, May 2013
- 64 **Corti S**, Nizzardo M, Simone C, Salani S, Ruepp M, Rizzo F, Ruggieri M, Brajkovic S, Faravelli I, Zanetta C, Bresolin N, Comi GP. Spinal muscular atrophy phenotype rescue by combined systemic and local morpholino treatment 13° Congresso Nazionale AIM 2013. *XIII Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, May 16-18 2013 *Acta myologica*, vol. XXXII, May

2013

- 65 Del Bo R., Magri F., Fortunato F., D'Angelo MG, Pane M., Bianco F., Govoni A., **Corti S.**, Mercuri E., Bresolin N., Moggio M., Comi GP. LAMA2 gene mutations are cause of congenital and limb-girdle muscular dystrophies. *XIII Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, May 16-18 2013 *Acta myologica*, vol. XXXII, May 2013, p 43
- 66 Pagliarani S., Sansone V., Scarlato M., Mosoni A., Magri F., Previtali S., **Corti S.**, Meola G., Lo Monaco M., Comi GP. Genetic distribution and unusual phenotypes in a periodic paralysis color. *XIII Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, May 16-18 2013 *Acta myologica*, vol. XXXII, May 2013, p 52
- 67 Piga D., Ronchi D., Magri F., **Corti S.**, Ghezzi S., Mercuri E., Bertini E., Toscano A., Moroni I., Moggio M., D'Angelo MG., Bruno C., Mora M., Bresolin N., Comi GP. Next generation sequencing in the analysis o fan italuano color of patients afected by nemaline myopathy. *XIII Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, May 16-18 2013 *Acta myologica*, vol. XXXII, May 2013, p 54
- 68 Ronchi D, Garone C, Bordoni A, Rios PG, Calvo SE, Ripolone M, Ranieri M, Rizzuti M, Xhani R, Servida M, Magri F, **Corti S**, Bresolin N, Mootha VK, Moggio M, Di Mauro S, Comi GP, Sciacco M. Next-generation sequencing discloses DGUOK mutations in adult patients with mtDNA multiple deletions. [COMUNICAZIONE ORALE] *XIII Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, May 16-18 2013 *Acta myologica*, vol. XXXII, May 2013, p57.
- 69 Ronchi D, Di Fonzo A, Bordoni A, Pagliarani S, Rizzuti M, Melzi V, Tiri G, Filosto M, Ferrò MT, Peverelli L, Vetrano IG, Spagnoli D, **Corti S**, Sciacco M, Moggio M, Bresolin N, Shen B, Comi GP. Mutations in DNA2 link progressive myopathy to mitochondrial DNA instability. *XIII Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, May 16-18 2013 *Acta myologica*, vol. XXXII, May 2013, p57.
- 70 Simone C, Nizzardo M, Rizzo F, Ruggieri M, Salani S, Riboldi G, Faravelli I, Zanetta C, Bresolin N, **Corti S**, Comi GP. Minimally invasive transplantation of iPSC-derived ALDHhiSSClo neural stem cells effectively improves the phenotype of an amyotrophic lateral sclerosis model. Congresso ARISLA 2013.
- 71 Rizzo F., Simone C., Ruggieri M., Salani S., Zanetta C., Faravelli I., Ruepp M., Moulton H., Bresolin N., Comi G., **Corti S.**, Nizzardo M. Development of an oligonucleotides strategy towards a treatment for ALS. Congresso ARISLA 2013.
- 72 Nizzardo M, Simone C., Rizzo F., Ruggieri M., Salani S., Zanetta C., Faravelli I., Ruepp M., Moulton H., Bresolin N., Comi G., **Corti S.** Improved oligonucleotides strategy towards a treatment for genetic motor neuron diseases. *XLIV Congresso della Società Italiana di Neurologia, Neurological Sciences, 2-5 Novembre, 2013.*
- 73 **Corti S.**, Nizzardo M., Simone C., Rizzo F., Ruggieri M., Salani S., Faravelli I., Zanetta C., Bresolin N., Comi G. Development of a therapeutic approach for Spinal Muscular Atrophy with Respiratory Distress (SMARD1) using human induced pluripotent stem cell-derived neural stem

cells and motor neurons, *XLIV Congresso della Società Italiana di Neurologia, Neurological Sciences, 2-5 Novembre, 2013.*

- 74 Lanfranconi S, Basilico P, Ronchi D, Ahmed N, **Corti S**, Comi GP, Bresolin N. A novel mutation in CCM/KRIT1 gene associated with familial cerebral cavernous malformations. *XLIV Congresso della Società Italiana di Neurologia, Neurological Sciences, 2-5 Novembre, 2013.*
- 75 Bersano A., Lanfranconi S., Micieli G., Delofovici M., Calloni M., Perrone P., Mazzucchelli F, Beretta S., Pezzini A., Padovani A., Sessa C., Motto C., Checcarelli N., Boncoraglio G., Gellera C., Taroni F., Penco S., Carrera P., Obici L., **Corti S.**, Comi G., Grasso M., Arbustini E., Bassi M., Comi G., Fusi L., Tancredi L., Lattuada O., Addobbati L., Ferrarese C., Parati L., Candelise L. Phenotype identification as clinical pregenetic screening for stroke monogenetic diseases: results from Lombardia Gens Registry. *XLIV Congresso della Società Italiana di Neurologia, Neurological Sciences, 2-5 Novembre, 2013.*
- 76 Lucchiari S., Pagliarani S., Ulzi G., Modoni A., Scarlato M., Magri F., D'Amico A., Previtali S., **Corti S.**, Meola G.,^[SEP] Lo Monaco M., Sansone V., Comi G.P. Genetic analysis of non-dystrophic myotonias in Italian patients, *XIV Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, Sirmione 2014
- 77 **Corti S.**, Simone C.; Nizzardo M., Rizzo F., Ruggieri M.,^[SEP] Salani S., Bucchia M., Rinchetti P., Magri F., Bresolin N.,^[SEP] Comi G. iPSC-derived neural stem cells act via kinase inhibition to exert neuroprotective effects in spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1^[SEP] *XIV Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, Sirmione 2014
- 78 Magri F., Govoni A., Brusa R., Angelini C., D'Angelo M.G.,^[SEP] Mongini T., Toscano A., Siciliano G., Tomelleri G., Mora M., Nigro V., Pegoraro E., Morandi L., Musumeci O., Sciacco M., Ricci G., Moroni I., Gandossini S., Del Bo R., Fortunato F., Ronchi D., **Corti S.**, Moggio M., Bresolin N., Comi G.P. The National Registry of limb Girdle Muscular dystrophy: clinical and molecular characterization of a sample of 466 Italian patients^[SEP] *XIV Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, Sirmione 2014
- 79 Nizzardo M., Simone C., Dametti S., Ramirez A., Dal Mas A., Frattini E., Riboldi G., Magri F., Bresolin N., Pagani F., Comi G.P., **Corti S.** RNA therapy for Spinal Muscular Atrophy by SMN increase or modulation of secondary cell death events^[SEP] *XIV Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, Sirmione 2014
- 80 Ripolone M., Ronchi D., Violano R., Vallejo D., Fagiolari G., Lucchini V., Barca E., Berardinelli A., Ballottin U., Morandi L., Mora M., Toscano A., Grimoldi N., Tiberio F., Bordoni A., Fortunato F., **Corti S.**, Di Mauro S., Comi G.P., Sciacco M., Moggio M. Muscle mitochondrial dysfunction due to defective mitochondrial biogenesis in SMA patients. *XIV Congress of the Italian Association of Myology (AIM)*, Sirmione 2014
- 81 Corti S, Nuovi approcci terapeutici nelle Atrofie Muscolari Spinali, AIM Naples 2015
- 82 Rizzuti M., Filosa G., Nizzardo M., Rinchetti P., Dioni L., Loffreda A., Calandriello L., Comi G.P., Barabino S., Corti S. ALS molecular therapy exploiting integrated small RNAs analysis of patient-derived iPSCs. 6th Annual AriSLA Conference, Milan, Italy. 2016.

Paola Corti

- 83 Ramirez A., Rizzuti M., Rizzo F., Rinchetti P., Bucchia M., Giulia Bassani., Bresolin N., Comi G.P., Corti S., Nizzardo M. Peptide-conjugated morpholino oligomers for treatment of spinal muscular atrophy. XIV Congress of the Italian Association of Myology (AIM), Lecce, Italy, 2016
- 84 Rizzuti M., Nizzardo M., Filosa G., Rinchetti P., Calandriello L., Dioni L., Bresolin N., Comi G.P., Barabino S., Corti S. ALS molecular therapy exploiting integrated small RNAs analysis of patient-derived iPSCs. INGM – POLICLINICO 3rd Research Day, 2016, Milan, Italy.
- 85 Rizzo F, Ramirez A, Ronchi R, Salani S, Nizzardo M, Fortunato F, Bordoni A, Del Bo R, Piga D, Bresolin N, Comi GP, Corti S. iPSC-derived motor neurons from CMT2A patients showed selective mitochondrial depletion, resistance to apoptosis and increased mitophagy. INGM – POLICLINICO 3rd Research Day, 2016, Milan, Italy.
- 86 Ramirez A, Rizzuti M, Crisafulli S, Rizzo F, Rinchetti P, Taiana M, Bresolin N, Comi GP, **Corti S**, Nizzardo M. Peptide-conjugated Morpholino Oligomers for treatment of Spinal Muscular Atrophy. *Convention Telethon 2017*, Riva del Garda, Italy.
- 87 Ribaud F, Aureli M, Schiumarini D, Salani S, Tartari S, Garbellini M, Bordoni A, Tiziano D, Bertini E, Filosto M, Filocamo M, Sonnino S, De Francesco R, **Corti S**, Bresolin N, Comi GP, Ronchi D. "Patients derived cellular models to investigate the pathogenesis and to develop therapies for human disorders caused by acid ceramidase deficiency". XIX Convention Telethon, March 2017, Riva del Garda, Italy
- 88 Nizzardo M., Rizzo F., Vashisht S., Salani S., Melzi V., Taiana M., Bresolin N., Comi G.P., Pozzoli U., **Corti S**. Axonal and synaptic genes with altered expression/splicing in human Spinal Muscular Atrophy motor neurons: molecular and therapeutic implications. XVII Congresso Nazionale SINS 2017, Ischia, Italy.
- 89 Melzi V, Rizzuti M, Dioni L, Locatelli M, Taiana M, Calandriello L, Filosa G, Comi GP, Nizzardo M, Barabino S, **Corti S**. ALS molecular therapy exploiting integrated small RNAs analysis of patient-derived iPSCs. Simposio nazionale sulla SLA: i passi avanti della ricerca e i nuovi trattamenti, Torino, Italy.
- 90 Govoni A., Magri F., Salani S., Del Bo R., Bresolin N., Comi G.P., Nizzardo M., **Corti S**. Correlation between IGHMBP2 protein levels in human motor neuron and non-neuronal somatic cells and phenotype of 5 patients affected with spinal muscular atrophy with respiratory distress type 1. 17° Congresso Nazionale Associazione Italiana di Miologia, 2017 Siracusa, Italia.
- 91 Rizzuti M., Bersani M. Ramirez A., Bordoni A., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.**, Nizzardo M. Morpholino conjugated with Cell Penetrating Peptides: a promising therapeutic strategy for Spinal Muscular Atrophy symptomatic cases. Brain conference, Genova, Italy, 2018
- 92 Taiana M., Bersani M., Nizzardo M., Rinchetti P., Barabino S., Bresolin N., Comi G.P., Corti S. Progress in C9-ALS therapy: patient specific iPSC-derived lines as in vitro model to test Morpholino oligomers efficacy. Brain conference, Genova, Italy, 2018
- 93 Melzi V., Rizzuti M., Dioni L., Filosa G., Calandriello L., Biella F., Bresolin N., Comi G.P., Barabino S., Nizzardo M., **Corti S**. Insights for ALS molecular therapy development through microRNAs profiling of patient-derived iPSCs and motor neurons. Focus on ALS / MND meeting Genova, Italy, 2018.

- 94 Taiana M., Bersani M., Nizzardo M., Kizilirmak C., Rinchetti P., Barabino S., Bresolin N., Comi G.P., **Corti S.** Patient specific iPSC-derived lines as in vitro model to test Morpholino oligomers efficacy. Focus on ALS / MND meeting Genova, Italy, 2018.
- 95 Rizzuti M, Nizzardo M, Melzi V, Dioni L, Loffreda A, Resnati D, Barabino S, **Corti S.** ALS molecular therapy exploiting integrated small RNAs and proteomic analysis of patient-derived induced pluripotent stem cells. ARISLA 2019
- 96 **Corti S.** “Novità e prospettive nelle malattie neuromuscolari”. XII Corso residenziale di Genetica Pediatrica Sindromi malformative complesse con disabilità intellettiva Starhotels Excelsior Bologna, 10-12 aprile 2019.
- 97 **Corti S.** Gene therapy and iPS-derived molecular targets in SMA AIM, Bergamo 2019
- 98 Magri F, Mauri E, Ronchi D, Govoni A, Brusa R, Fortunato F, D’Angelo MG, Moggio M, Bresolin N, Corti S, Comi G.P. Limb Girdle Muscular Dystrophies molecular diagnosis. AIM, Bergamo 2019.
- 99 Govoni A, Magri F, Meneri M, Velardo D, Ronchi D, Cinnante C, Triulzi F, Vergari M, Cogiமானian F, Stocchetti N, Calderini E, Albamonte E, Sansone VA, D’Angelo MG, **Corti SP,** Comi GP. Clinical and muscle MRI profile of a cohort of SMA patients being treated with Nusinersen AIM Bergamo 2019
- 100 Meneri M, Govoni A, Magri F, Ronchi D, Manenti GF, Brusa R, Velardo D, Albamonte E, Sansone V, Previtali SC, Berardinelli A, **Corti SP,** Comi GP. SMN1 intragenic mutations in a cohort of Italian SMA patients. AIM Bergamo 2019
- 101 Velardo D, Abati E, Brusa R, Magri F, Govoni A, Meneri M, Sciacco M, Peverelli L, Cinnante C, Triulzi F, **Corti S,** Bresolin N, Moggio M, Comi GP. Pediatric anti-HMGCR necrotizing myopathy resembling limb-girdle muscular dystrophy. AIM Bergamo 2019
- 102 Brusa R, Del Bo R, Ronchi D, Peverelli L, Velardo D, Meneri M, Magri F, Govoni A, Faravelli I, Gagliardi D, Mauri E, Abati E, Costamagna G, Cinnante C, Sciacco M, Moggio M, **Corti S,** Comi GP, Torrente Y. Founder mutation in Eastern Europe patients with GNE myopathy. AIM Bergamo 2019
- 103 **Corti S.** Terapie innovative nelle distrofie muscolari dei cingoli -2° Congresso Internazionale Distrofia dei cingoli da deficit di Calpaina 3 - Il paziente, la malattia, la cura, invited speaker Bosiso Parini.
- 104 Govoni A, **Corti S,** Phenotypic features of adult SMA patients treated with Spinraza, FSMA 2019 Genova.
- 105 Monfrini E, Bonato S, Straniero L, Duga S, Comi GP, Bresolin N, Monzio Compagnoni G, **Corti S** and Di Fonzo A. Neurofascin (NFASC) is a novel gene associated with cerebellar ataxia and demyelination neuropathy. SIN 2019

- 106 Abati E, Manini A, Rizzo F., Del Bo R, Citterio G., Mandich P, Bassi M, Bresolin N, Comi G, **Corti S**. Identification of two novel MFN2 mutations in CMT2A. SIN 2019.
- 107 Brusa R, Brajkovic S, Faravelli I, Gagliardi D, Mauri E, **Corti S**, Comi GP. Opsoclonus in a patient with aggressive large cell neuroendocrine carcinoma. SIN 2019
- 108 Gagliardi D, Brusa R, Abati E, Faravelli I, Mauri E, Meneri M, Velardo D, Triulzi F, Bresolin N, Comi G, Corti S. Central nervous system lesions in a young and immunocompetent patient: not only inflammation. SIN 2019
- 109 Bernat Fuertes M, Mercuri E, Baranello G, Day JW, Bruno C, **Corti S**, Chiriboga CA, Crawford TO, Darras BT, Finkel RS, Connolly AM, Iannaccone ST, Kuntz NL, Masson R, Peña LDM, Schultz M, Shieh PB, Smith EC, Feltner DE, Ouyang H, Lavrov A, Kernbauer E, Williamson S, L'Italien J, Sproule DM, Mendell JR, Muntoni F. AVXS-101 gene replacement therapy for spinal muscular atrophy type 1: pivotal studies and Clinical Update (STRIVE-EU and STRIVE). SIN, 2019 Bologna.
- 110 Faravelli I, Magri F, Meneri M, Velardo D, Abati E, Parente V, Saccomanno D, Ronchi D, Stocchetti N, Calderini E, D'Angelo MG, Albamonte E, Sansone V, Comi G, Corti S, Govoni A. Can cerebrospinal fluid neurofilaments represent a reliable pharmacodynamic biomarker for Spinal Muscular Atrophy, SIN 2019 Bologna.
- 111 Gagliardi D, Saccomanno D, Meneri M, Bresolin N, Comi G, Corti S. Diagnostic and prognostic role of cerebrospinal fluid neurofilaments in Amyotrophic Lateral Sclerosis. SIN 2019 Bologna.
- 112 Velardo D, Abati E, Brusa R, Magri F, Govoni A, Meneri M, Sciacco M, Cinnante C, Ciscato P, Corti S, Bresolin N, Moggio M, Comi G. Pediatric anti-hmgcr necrotizing myopathy resembling limb-girdle muscular dystrophy. SIN 2019 Bologna.
- 113 Faravelli I, Rinchetti P, Mancinelli S, Mapelli L, Forotti G, Rizzuti M, Cordiglieri C, Calandriello L, Tamanini S, Biella F, Costamagna G, D'Angelo E, Bresolin N, Comi GP, Lodato S, Nizzardo M and **Corti S**. Modelling Spinal Muscular Atrophy with human 3D cell culture systems EOS 2019 – EUROPEAN ORGANOID SYMPOSIUM
- 114 Biella F., ...**Corti S** Modelling ALS with human 3D cell culture systems EOS 2019 – EUROPEAN ORGANOID SYMPOSIUM
- 115 **Corti S** Knockdown and Replacement of MFN2: a Gene Therapy to treat Dominantly Inherited Peripheral Neuropathy CMT2A Telethon Meeting Riva del Garda

Comunicazioni scientifiche su riviste non censite

- 1 Bresolin N., D'Angelo M.G., **Corti S.**, Torrente Y., Del Bo R., Sironi M., Perini M.P., Strazzer S., Comi G.P., Scarlato G.: Terapia genica della distrofia muscolare di Duchenne. Atti del Corso Residenziale di Perfezionamento in Diagnostica Multidisciplinare delle Malattie Neuromuscolari Policlinico Università di Messina 1997
- 2 Bresolin N., **Corti S.**, Paganoni S. La terapia genica nella Distrofia Muscolare di Duchenne Atti del Convegno: Aggiornamento sulle malattie muscolari. U.I.L.D.M. Rimini pp 23-37; 1999
- 3 Bresolin N., **Corti S.** Screening biochimico nelle miopatie metaboliche. IV congresso Europeo Congresso di aggiornamento anestesia in pazienti con patologie neuromuscolari. 30/9-2/10/2004 Padova

Il sottoscritto è a conoscenza che, ai sensi dell'art. art. 76 del DPR 445/2000, le dichiarazioni mendaci, la falsità negli atti e l'uso di atti falsi sono puniti ai sensi del codice penale e delle leggi speciali. Inoltre, il sottoscritto autorizza al trattamento dei dati personali ai sensi dell'art. 13 D. Lgs. 30 giugno 2003 n°196 – "Codice in materia di protezione dei dati personali" e dell'art. 13 GDPR 679/16 – "Regolamento europeo sulla protezione dei dati personali".

Autorizzo il trattamento dei miei dati personali ai sensi del Decreto Legislativo 30 giugno 2003, n. 196 (Codice in materia di protezione dei dati personali) e sue successive modifiche e integrazioni, nonché del Regolamento UE 679/2016 (Regolamento Generale sulla Protezione dei dati o, più brevemente, RGPD).

Milano 15/11/2019

Stefania Paola Corti