

### Curriculum vitae

- 03/08-ad oggi Direttore Scientifico dell'Istituto Scientifico Universitario San Raffaele, Milano, Italia;
- 03/07-ad oggi Professore Straordinario in Pediatria, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università Vita-Salute San Raffaele, Milano, Italia;
- 07/03- ad oggi Direttore del Programma di Ricerca Strategico di Immunoematologia Pediatrica IRCCS San Raffaele, Milano, Italia;
- 06/00-09/08 Direttore dell'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (HSR-TIGET), Milano, Italia;
- 12/98-05/00 Co-Direttore dell'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (HSR-TIGET), Milano, Italia;
- 02/98-12/98 Direttore del Laboratorio di Terapia Cellulare, Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica Milano, Italia;
- 11/01-02/07 Professore Associato in Pediatria, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università Vita-Salute San Raffaele Milano, Italia;
- 11/94-10/01 Professore Associato in Pediatria, Dipartimento di Pediatria, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università di Torino, Torino, Italia;
- 3/92-12/96 Senior Staff Scientist, Human Immunology Department, DNAX Research Institute for Molecular and Cellular Biology, Palo Alto, CA;
- 3/89-3/92 Staff Scientist, Human Immunology Department, DNAX Research Institute for Molecular and Cellular Biology, Palo Alto, CA;
- 2/88-2/89 Assistente straniero (Medecin Resident Etranger des Hospices Civils de Lyon), Centro Trapianti ed Immunologia Clinica, Ospedale E. Herriot, Lyon, Francia;
- 8/86-1/88 Associate Senior Scientist (Chargée de Recherches), Laboratorio di Ricerca Immunologica UNICET (Schering-Plough), Dardilly, Francia; Assistant Professor, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università Claude Bernard, Lyon, Francia;
- 1985-7/86 Medico interno, Clinica Pediatrica, Divisione di Immunologia, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università di Torino, Italia;
- 1984 Research Associate, Laboratorio di Ricerca Immunologica UNICET, (Schering-Plough), Dardilly, Francia;
- 1983-84 Research Fellow, Centro trapianti ed immunologia clinica Ospedale E. Herriot, Lyon, Francia;
- 1980-83 Medico interno, Clinica Pediatrica, Divisione di Immunologia, Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università di Torino, Italia;
- 1982 Laurea in Medicina, votazione con lode, Università degli Studi di Torino, Italia.

### Attività di ricerca

Ha lavorato per molti anni a Lione, presso il Centro Trapianti dell'Ospedale Edouard Herriot e presso il Laboratorio di ricerca Immunologica UNICET, sui meccanismi della tolleranza in pazienti affetti da immunodeficienza combinata grave (SCID), guariti grazie al trapianto con cellule staminali del sangue.

Ha lavorato per più di 8 anni presso il DNAX Research Institute of Molecular and Cellular Biology, Human Immunology Department, a Palo Alto, in California sulla biologia delle citochine, sul trasferimento genico in cellule staminali del sangue e sui meccanismi della tolleranza immunologica.

Ha focalizzato la propria carriera sulla ricerca di base e ricerca clinica, sia nel campo immunologico che ematologico. Il suo principale interesse è da sempre l'applicazione della ricerca di base alla cura dei pazienti, con la convinzione che il trasferimento dei risultati dal laboratorio alla clinica e viceversa sia di fondamentale importanza per il progresso della medicina e per trovare nuovi approcci terapeutici.

Sin dall'inizio della sua carriera ha rivolto i propri studi all'identificazione sia dei meccanismi che caratterizzano i difetti immuni, che di nuove terapie per i bambini affetti da immunodeficienza combinata grave (SCID) ed altre forme di immunodeficienze primarie. Ha studiato i meccanismi di tolleranza nei pazienti SCID trapiantati con cellule staminali ematopoietiche allogeniche, dimostrando che, in questi bambini, la tolleranza è dovuta ad un meccanismo attivo di soppressione. E' inoltre stata tra i primi a provare in modo convincente che la soppressione attiva è mediata dalle cellule T regolatorie.

Il suo gruppo di ricerca ha scoperto una nuova sottoclasse di cellule T regolatorie, chiamate cellule T regolatorie di tipo 1. Dalla pubblicazione del risultato su "Nature", queste cellule sono state oggetto di ampie ricerche e diversi gruppi, compreso quello della Prof.ssa Roncarolo, hanno dimostrato che le cellule T regolatorie di tipo 1 giocano un ruolo fondamentale nell'omeostasi immunologica e nella prevenzione delle malattie autoimmuni.

I suoi principali **interessi di ricerca** sono:

- Immunotolleranza: Meccanismi che presidono alla tolleranza delle cellule T, all'induzione di anergia delle cellule T e delle cellule T regolatorie

- Immunosoppressione: Meccanismi che presiedono all'attivazione e alla tolleranza immunologica delle cellule T
- Trapianti: Ricostituzione immunologica e tolleranza delle cellule T dopo trapianto allogenico di cellule staminali in malattie genetiche Immunodeficienze primarie Caratterizzazione dei difetti molecolari ed immunologici
- Ematopoiesi: Meccanismi che presiedono alla crescita e differenziazione dei precursori ematopoietici
- Citochine: Ruolo nella regolazione delle risposte immuni e infiammatorie
- Terapia genica: Trasduzione di cellule ematopoietiche per la terapia genica delle immunodeficienze primarie e delle malattie metaboliche

I suoi principali **interessi clinici** sono: Immunodeficienze primarie, Malattie autoimmuni, Trapianto di midollo allogenico, Trials clinici di terapia genica

Ha pubblicato 201 articoli in riviste scientifiche internazionali (Impact Factor totale 1957, Impact Factor medio 9,74), e scritto 22 capitoli di libri. In tutto i suoi lavori sono stati citati > 8500 volte (Indice "h" di Scopus: 48).

Titolare di 11 brevetti in parte già pubblicati e in parte in fase di approvazione.

**Attività professionali:**

- Revisore per le seguenti agenzie di finanziamento: Wellcome Trust, UK; Immune Tolerance Network, USA; CEE (5° e 6° Programma Quadro); Ministero per l'Università e la Ricerca Scientifica (Cofin-Cineca), Italia; Fonds zur Foerderung der wissenschaftlichen Forschung (FWF) - Austria; A.I.S.M. – Italia; Juvenile Diabetes Research Foundation – USA (fino a 09/2008); French National Research Agency (ANR) and French Institute for Research on Rare Diseases (GIS-Institut des Maladies Rares); The Spanish Ministry of Health and Consumer's Affairs; ERC Starting Grants.
- Membro del Comitato Editoriale di Current Gene Therapy (da Gennaio 2006 ad oggi); Human Immunology (da Gennaio 2007 ad oggi); Rivista Italiana di Pediatria (da Giugno 2007 ad oggi).
- Membro del Consiglio Direttivo della Scuola Italiana di Immunologia "Ruggero Ceppellini" di Napoli (dal 1997 ad oggi).
- Membro dello Scientific Advisory Board dell' ITERT (Institut de transplantation et de recherche en transplantation) di Nantes (dal 2001 ad oggi).
- Membro del Comitato Scientifico di ESH (Scuola Europea di Ematologia) (dal Gennaio 2004 ad oggi).
- Membro dell' "Immunology of Gene Therapy Committee" dell' ASGT (American Society of Gene Therapy) (dal Maggio 2004 ad oggi).
- Membro del Comitato di regolamentazione ed etico dell'ESGT (European Society of Gene Therapy) (dal Dicembre 2006 ad oggi).
- Chair dell' "Immunology of Gene Therapy Committee" dell' ASGT (dal Gennaio 2008 ad oggi).
- Membro dell' "Immunology Working Party" dell' EBMT (European Group for Blood and Marrow Transplantation) (dal Maggio 2008 ad oggi).

La Prof.ssa Roncarolo ha supervisionato > 10 studenti di PhD fino a completamento del rispettivo ciclo di studi.