

SPOKE N. 6: Editing del genoma attraverso sistemi di delivery per la medicina personalizzata

GENERE: Genome Editing per il trattamento delle patologie retiniche mediante sistemi di nano-delivery

RESPONSABILE

Dr.ssa Antonia Romitelli

Proponente: Tecnobios

Durata: 11 mesi

Obiettivo: Sviluppare un sistema innovativo per la somministrazione di CRISPR/Cas9 per trattare patologie retiniche

Tecnobios è un'azienda campana che nasce nel 1989 ad Apollosa (BN) e si distingue per il suo impegno nello sviluppo di terapie innovative e all'avanguardia combinando la ricerca clinica e traslazionale in campo biomedico e farmacologico. Vanta oltre trenta anni di esperienza nella ricerca e sviluppo di dispositivi medici innovativi, formulazioni di oftalmologia e la medicina rigenerativa, nonché soluzioni diagnostiche in vitro, con forte specializzazione in oncologia.



TECNOBIOS

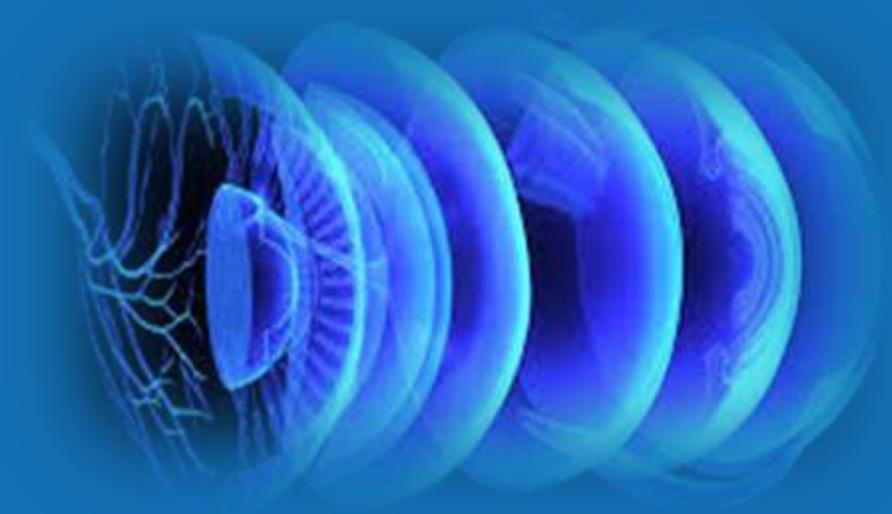
LAB TO BUSINESS

GENERE: Genome editing per il trattamento delle patologie retiniche mediante sistemi di nano-delivery

Le patologie retiniche, come la degenerazione maculare legata all'età (AMD). Rappresentano una delle principali cause di cecità irreversibile, colpendo prevalentemente la popolazione anziana.

Il progetto GENERE mira a:

- Sviluppare un sistema innovativo basato sulla somministrazione di CRISPR/Cas9 nell'ambito delle patologie retiniche
- Adottare un approccio multiomico per l'identificazione di nuovi biomarcatori per monitorare l'efficacia delle terapie geniche



Tecnologia innovativa

- Sviluppo di un sistema di delivery avanzato per superare le barriere biologiche oculari
- Rilascio mirato e controllato del sistema CRISPR/Cas9
- Validazione di efficacia e sicurezza con un approccio multiomico



Struttura del progetto e fasi chiave

**WP1
MESI 1-4**

Sviluppo e ottimizzazioni
delle formulazioni
liposomiali

**WP2
MESI 4-8**

Valutazione dell'efficacia
dell'Editing Genetico

**WP3
MESI 8-11**

Validazione tramite analisi
multiomica

GENERE: Genome editing per il trattamento delle patologie retiniche mediante sistemi di nano-delivery

WPI
MESI 1-4

Sviluppo delle formulazioni liposomiali

Obiettivo: Progettare e sviluppare delle formulazioni di liposomi per l'incapsulamento e il rilascio mirato di CRISPR/Cas9 nelle cellule retiniche.

Caratteristiche:

- Creazione di formulazioni innovative come LPH e LCP
- Ottimizzazione delle particelle e valutazione delle proprietà chimico-fisiche

Risultato atteso:

- Produzione di nanoparticelle biocompatibili e biodegradabili
- Rilascio efficiente e controllato di CRISPR/Cas9

WP2
MESI 4-8

Valutazione dell'efficacia dell'Editing Genetico

Obiettivo: Testare e validare l'efficacia del sistema di nano-delivery in modelli cellulari avanzati, concentrandosi sull'editing genetico del gene target VEGF nelle cellule retiniche.

Caratteristiche:

- Test in vitro delle formulazioni
- Analisi dell'editing genetico con tecniche di sequenziamento NGS e qPCR

Risultato atteso: Validazione del sistema di nano-delivery e conferma dell'editing genetico

RESPONSABILE

Dr.ssa Antonia Romitelli



WP3
MESI 8-11

Validazione tramite analisi multiomica

Obiettivo: Validare l'efficacia e la sicurezza del sistema di nano-delivery CRISPR/Cas9 attraverso un approccio multiomico (genomico, trascrittomico e proteomico)

Caratteristiche:

- Analisi genomica e trascrittomica (RNA-seq)
- Analisi proteomica e identificazione di biomarcatori di efficacia e sicurezza

Risultato atteso:

- Validazione del sistema in condizioni clinicamente rilevanti
- Identificazione di nuovi biomarcatori per monitorare l'efficacia della terapia

Risultati Attesi

- Validare un sistema di nanoparticelle liposomiali biocompatibili e biodegradabili
- Sistema di nano-delivery di CRISPR/Cas9 per editing mirato
- Identificazione di biomarcatori di efficacia e sicurezza

Impatto del progetto e conclusioni

Valore per la ricerca e la salute:

- Introduzione di sistemi nano-delivery avanzati con nuove prospettive nell'editing genetico
- Sviluppo di terapie mirate per le patologie retiniche, in particolare per la degenerazione maculare legata all'età (AMD)
- Promozione della medicina di precisione
- Nuove prospettive di cura

Grazie per l'attenzione

Dr. ssa Antonia Romitelli

info@tecnobios.com