

Sistema CRISPR-Cas per la terapia genica



INVENTORI: Conticello Silvestro; Croci Susanna; Daga Sergio;
Donati Francesco; Meloni Ilaria; Pinto Anna Maria; Renieri
Alessandra

CONTITOLARI: Azienda Ospedaliera Universitaria Senese

STATUS PATENT: concesso in Italia

N° PRIORITÀ: 102018000020230

DATA DI CONCESSIONE: 17/11/2020

ESTENSIONE: Italia, Europa, Stati Uniti

L'invenzione



L'invenzione riguarda l'impiego della tecnologia "Clustered Regularly Interspersed Short Palindromic Repeat (CRISPR)-CRISPR associated (Cas) (CRISPR-Cas)" ingegnerizzata verso una sequenza bersaglio mutata in uno o vari locus nel genoma di una cellula eucariotica specifica. Il fine di questa invenzione è quello di raggiungere un trattamento definitivo e risolutivo per quattro malattie monogeniche derivanti da mutazioni di un singolo gene, nello specifico della malattia di Parkinson, della sindrome di Rett, della malattia di Pompe e della sindrome di Alport.

Ad oggi non sono disponibili trattamenti curativi per queste patologie, ma soltanto approcci terapeutici basati sul trattamento sintomatico dei pazienti con l'obiettivo di migliorare la qualità e l'aspettativa di vita. Inoltre, le cellule in cui tali mutazioni geniche risultano rilevanti sono di difficile modificabilità, essendo ad esempio cellule non più in divisione oppure protette.

In questo contesto, la tecnologia oggetto dell'invenzione è stata modellata appositamente per veicolare in tali cellule bersaglio il sistema CRISPR-cas9 e sostituire attraverso ricombinazione omologa gli alleli mutati con una copia del gene non mutato.

Disegni e Immagini

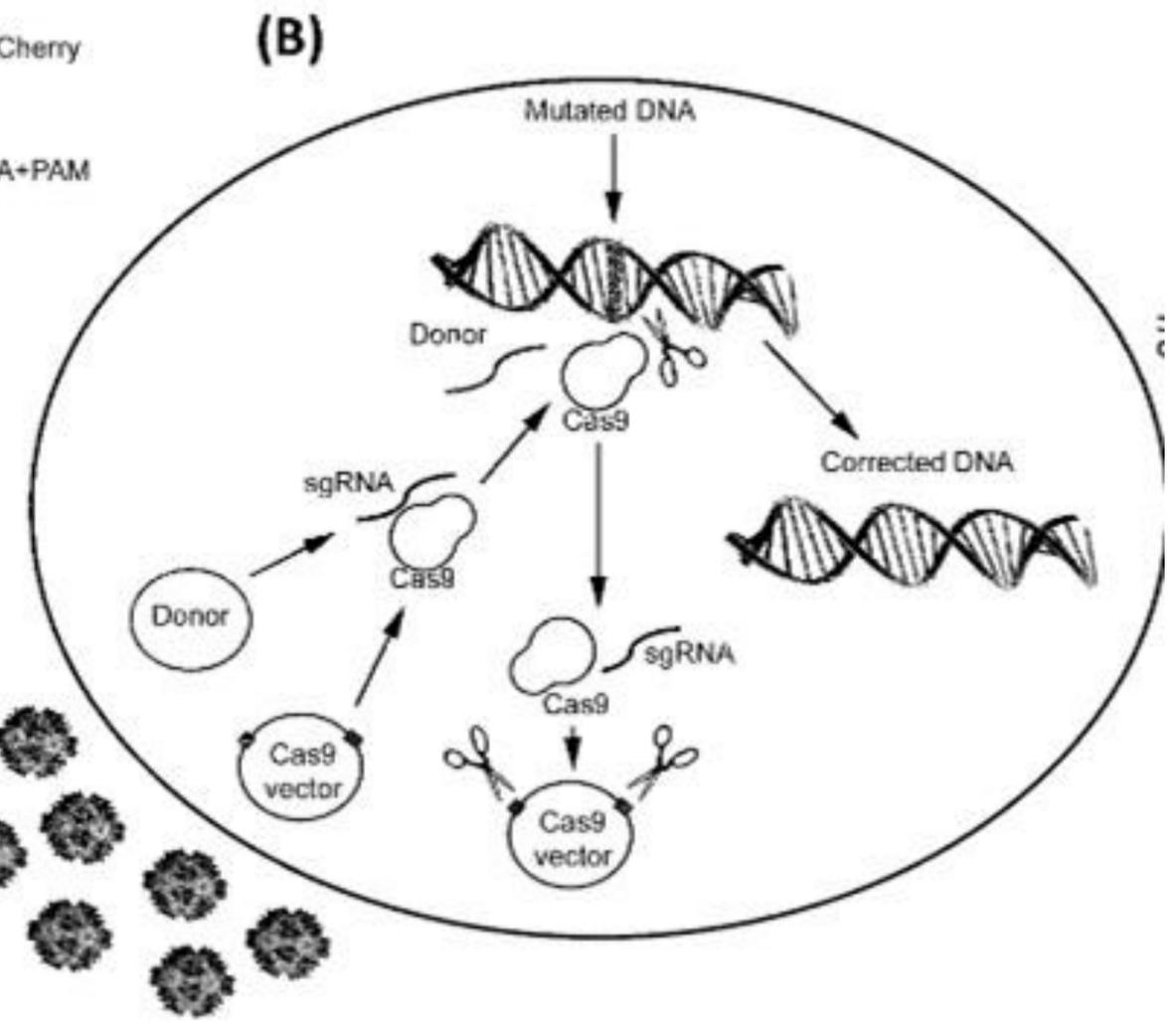
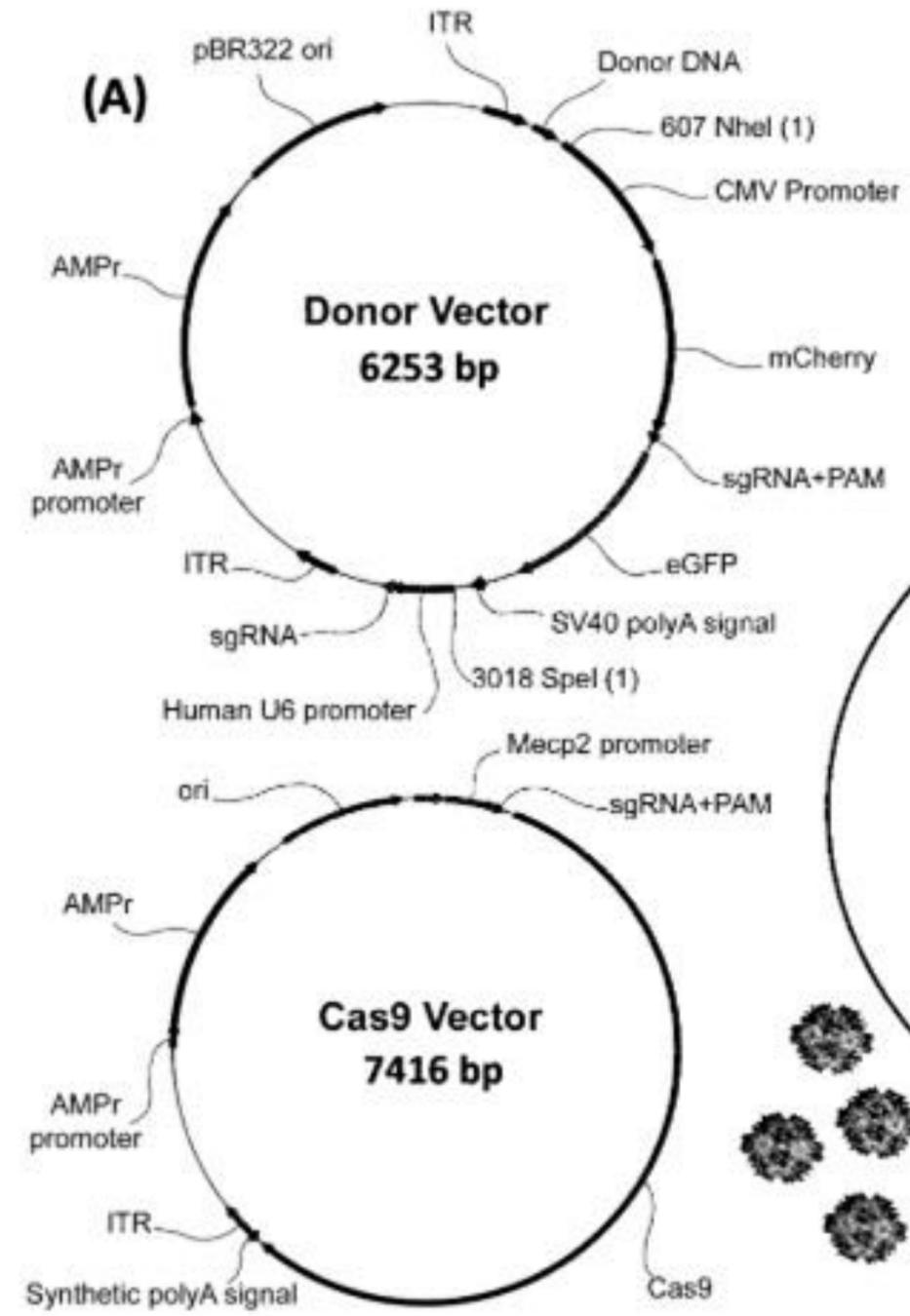


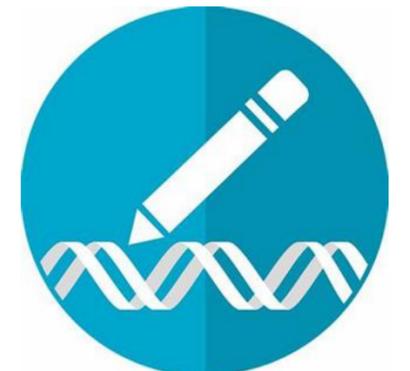
FIG. 1

Applicabilità Industriale



La tecnologia troverà applicazioni sia nelle imprese biotecnologiche e farmaceutiche aventi in pipeline ATMPs (Advanced Therapy Medicinal Products), sia negli ospedali, strutture sanitarie o strutture di servizi sanitari operanti nella medicina personalizzata.

In particolare, l'invenzione si applica a mutazioni nel genoma che colpiscono organi le cui cellule sono completamente differenziate e quindi non più in divisione, quali il sistema nervoso centrale (neuroni, caso della sindrome di Rett) e reni (caso della sindrome di Alport).



Possibili Evoluzioni



Attualmente valutata a TRL 3, la tecnologia potrà essere ulteriormente sviluppata all'interno di specifici progetti di maturazione tecnologica volti ad innalzare il livello, in particolare per quanto riguarda la sicurezza e l'applicabilità a livello ospedaliero.

Il gruppo è alla ricerca di partners industriali operanti nell'ambito delle Advanced Therapy Medicinal Products interessati a collaborare per la suddetta maturazione tecnologica dell'invenzione.

Un possibile progetto volto ad innalzare il TRL a 4 può basarsi sullo studio su larga scala dell'approccio in modelli cellulari rilevanti per la patologia (es. Neuroni per Rett e cellule renali per Alport) derivati da cellule delle pazienti in modo da convalidare sicurezza ed efficacia dell'approccio su un numero elevato di casi.

L'Università di Siena è disponibile a siglare specifici accordi di valorizzazione, licenza od opzione del titolo brevettuale collegato all'invenzione.

Per maggiori informazioni:



Ufficio di Trasferimento Tecnologico dell'Università degli Studi di Siena

Sede: via di Valdimontone, 1 - 53100 Siena ITALIA

Sito web: <https://www.unisi.it/ricerca/impres-e-trasferimento-tecnologico>

E-mail: brevetti@unisi.it

Per maggiori informazioni:



Ufficio Regionale di Trasferimento Tecnologico

Sede: Via Luigi Carlo Farini, 8 50121 Firenze (FI)

E-mail: urtt@regione.toscana.it

