

PIANO DELLE ATTIVITÀ

Il piano di attività prevede una prima fase di sviluppo e caratterizzazione, presso il CIDSTEM, di due nuovi vettori SIN-alfa e SIN-gamma retrovirali che trasportano COL7A1 per il trattamento dell'epidermolisi bollosa distrofica recessiva (RDEB), che saranno analizzati per valutarne sicurezza ed efficienza di trasduzione.



Centro Interdipartimentale
Cellule Staminali e Medicina Rigenerativa



UNIMORE Center for
UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DI GENOME RESEARCH
MODENA E REGGIO EMILIA



SERVIZIO SANITARIO REGIONALE
EMILIA-ROMAGNA
Azienda Ospedaliero-Universitaria di Modena
Policlinico



DEMOCENTER



HOLOSTEM
TERAPIE AVANZATE



www.hg7porfesr2.eu



IL PROGETTO

Il progetto si pone come ideale continuazione del progetto "Hologene 7 come modello di sviluppo di una terapia avanzata a base di cellule staminali geneticamente corrette" finanziato nel 2016 nell'ambito del Bando POR-FESR 2014-2020. Partendo dai risultati già raggiunti, il progetto si propone di ottimizzare la sicurezza e l'efficacia della terapia genica ex-vivo per la forma distrofica dell'Epidermolisi Bollosa, la più diffusa e invalidante. Verranno sviluppati nuovi vettori SIN-RV (Self-Inactivating Retroviral Vector) e relative strategie di trasduzione da testare sia in vitro sia in vivo, con l'avvio di un trial clinico presso il Policlinico di Modena.

GLI OBIETTIVI

L'obiettivo di questo progetto è lo sviluppo e l'industrializzazione di prodotti medicinali per terapie avanzate mirati a sostituire e/ rigenerare cellule, tessuti o organi.

Nello specifico gli obiettivi del progetto sono:

- sviluppo di un prodotto di terapia genica ex-vivo mediante cellule staminali epidermiche modificate geneticamente con nuovi vettori SIN-RV per la cura della forma Distrofica dell'EB (Hologene7 2.0);
- sviluppo di una tecnologia di diagnosi e caratterizzazione genomica dell'EB, in grado di abbattere notevolmente i tempi e i costi della diagnosi tradizionale e fornire dati genetico-molecolari più completi ed accurati;
- rafforzamento delle competenze cliniche del Policlinico di Modena sull'EB in un'ottica di interdisciplinarietà e di approccio olistico al paziente;
- valorizzazione industriale degli output del progetto e dell'approccio partecipativo adottato come pivot per la creazione di una rete di centri Hub & Spoke che, con la realizzazione di un EB-Hub a Modena, preveda il coinvolgimento come Spoke di altri centri clinici emiliano-romagnoli, italiani e stranieri.

I PARTNER

CIDSTEM

Centro Interdipartimentale Cellule Staminali e Medicina Rigenerativa UniMoRe

Il Centro Interdipartimentale Cellule Staminali e Medicina Rigenerativa (CIDSTEM) dell'Università degli Studi di Modena e Reggio Emilia ha sede presso il Centro di Medicina Rigenerativa "Stefano Ferrari" (CMR), punto di riferimento internazionale per le terapie avanzate mediante l'utilizzo di cellule staminali epiteliali, che dispone di un'officina farmaceutica di produzione autorizzata GMP (autorizzazione AIFA n. aM - 169/2014).

Stefania Bettinelli • s.bettinelli@unimore.it

www.cidstem.unimore.it

CGR

Center for Genome Research UniMoRe

Il Centro Interdipartimentale di Ricerche Genomiche (CGR) nasce per coordinare e promuovere le altissime competenze dei gruppi di ricerca dell'Ateneo Modenese che operano nel campo della genomica. Il Centro offre servizi nei settori: MEDICO, BIOTECNOLOGICO, FARMACEUTICO, E AGROALIMENTARE. Offre servizi di ricerca industriale, clinica e trasferimento tecnologico ad Aziende Sanitarie, Università, Enti di Ricerca ed Imprenditoria, con particolare riguardo alle Piccole e Medie Imprese (P.M.I.).

Enrico Tagliafico • enrico.tagliafico@unimore.it

www.cgr.unimore.it

Fondazione Democenter-Sipe

La Fondazione Democenter-Sipe è un centro accreditato per l'innovazione della Rete Alta Tecnologia. Democenter-Sipe sostiene i percorsi di innovazione ponendosi come facilitatore e interfaccia fra centri di ricerca, enti pubblici e imprese, realizzando azioni di trasferimento e diffusione delle attività e dei risultati della ricerca.

Massimo Garuti • m.garuti@fondazionedemocenter.it

www.democentersipe.it

Policlinico di Modena

L'Azienda Ospedaliero-Universitaria Policlinico di Modena è un ospedale di insegnamento sede della Facoltà di Medicina e Chirurgia dell'Università di Modena e Reggio Emilia, con la finalità di produrre ed erogare in modo efficiente prestazioni sanitarie ed assistenziali, da quelle di base a quelle di alta complessità, di efficacia scientificamente dimostrata ed appropriate, avendo attenzione ai bisogni psicologici e sociali delle persone assistite. Il Policlinico garantisce adeguati supporti assistenziali e attiva partecipazione alle attività di formazione della Facoltà di Medicina e Chirurgia e favorisce l'attività di ricerca, con particolare riferimento a quella con

significative e positive ricadute sull'attività assistenziale e di formazione.

Filippo Martani • martani.filippo@policlinico.mo.it

www.policlinico.mo.it

Holostem Terapie Avanzate

Holostem Terapie Avanzate è la prima azienda biotecnologica interamente dedicata allo sviluppo, alla produzione, alla registrazione e alla distribuzione di prodotti di terapie avanzate basati su colture di cellule staminali epiteliali per terapia cellulare e genica. Il principale obiettivo di Holostem Terapie Avanzate è infatti promuovere la Medicina Rigenerativa basata sull'utilizzo di cellule staminali epiteliali per i pazienti senza alternative terapeutiche.

Stefania Bettinelli • s.bettinelli@holostem.com

www.holostem.com

Chiesi Farmaceutici

Chiesi Farmaceutici è un gruppo internazionale orientato alla ricerca, con oltre 80 anni di esperienza e con sede a Parma. Chiesi ricerca, sviluppa e commercializza farmaci innovativi nelle aree terapeutiche respiratoria, neonatologia, malattie rare e della medicina specialistica in cui è in corso lo sviluppo di prodotti avanzati nel campo della terapia proteomica, genica e delle cellule staminali. Nel 2015 l'azienda ha realizzato un fatturato di oltre 1,46 miliardi di Euro, in crescita del 9,4% rispetto al 2014.

Roberta Buti • r.but@chiesi.com

www.chiesi.com

JSB Solutions

JSB Solutions è un'azienda di consulenza specializzata in compliance, ottimizzazione dei processi e nello sviluppo di soluzioni informatiche nel settore farmaceutico e industriale. Accreditata dal 2016 come CRO, offre ad oggi una gamma di servizi nelle seguenti aree: Studi Clinici, GMP & GCP Quality Assurance support, Regulatory Affairs, Computer System Validation, Equipment & Utilities Validation, Maintenance Management, Training, QA & QC support and Software Development.

Valentina Grazzini • hg7porfesr@jsb-solutions.com

www.jsb-solutions.com

CONTATTI

059.2058070 - cidstem@unimore.it

www.cidstem.unimore.it