

Progetto PR-FESR 2021-2027 per il raggiungimento di nuovi obiettivi tecnologici e produttivi nel campo della epidermolisi bollosa

Cristina Magnoni SSD Chirurgia Dermatologica AOU Modena



Cofinanziato dall'Unione europea

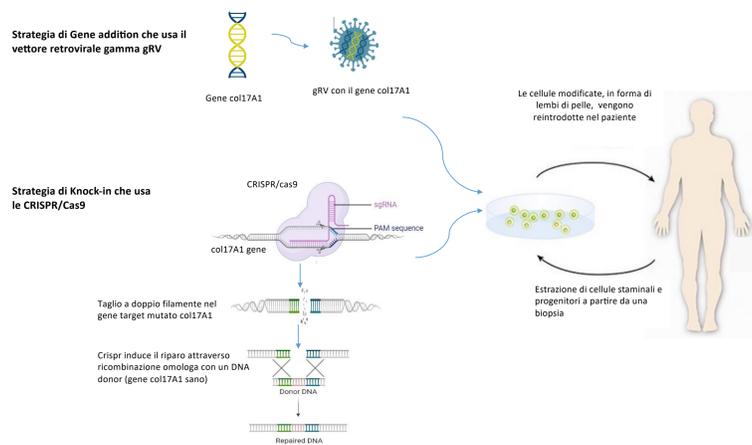


Regione Emilia-Romagna

Il progetto si pone come ideale continuazione dei progetti POR-FESR 2014-2020 "Hologene 7 come modello di sviluppo di una terapia avanzata a base di cellule staminali geneticamente corrette" (HG7) e del progetto "Hologene7 2.0: L'Epidermolisi Bollosa (EB) a Modena dalla diagnosi alla terapia genica" (HG7 2.0) che hanno reso l'Emilia-Romagna un centro di eccellenza internazionale per la diagnosi, la presa in carico clinica e la ricerca sulla terapia genica, arruolando circa 200 pazienti con EB provenienti da tutta Italia e dell'estero.

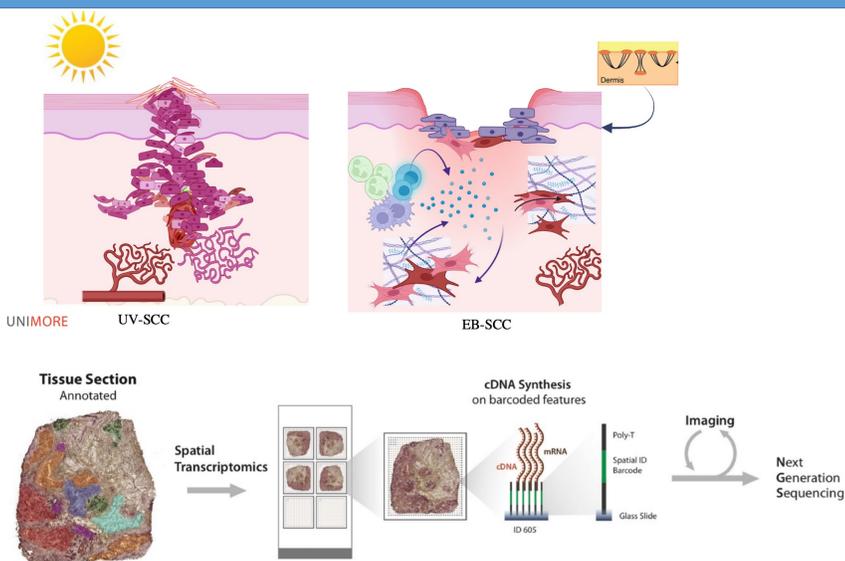
HG7 3.0, della durata di 30 mesi, si propone di rispondere alle ulteriori principali sfide legate all'EB

WP1 Sviluppo di due diverse strategie di terapia genica per Epidermolisi Bollosa Giunzionale Coll17-dipendente



Saranno sviluppate e testate in vitro su cellule derivate dai pazienti due diverse strategie di terapia genica per EB17: una basata sullo sviluppo di un vettore retrovirale gamma (gRV), analogo a quello già utilizzato per il trattamento di EBGLAMB3, mediante gene addition, più consolidata dal punto di vista tecnologico e quindi più vicina all'applicazione clinica; l'altra basata, sul sistema CRISPR-Cas9, che mira a implementare un'innovativa strategia di gene editing knock-in per una forma recessiva di EB, mai utilizzata prima in cheratinociti primari.

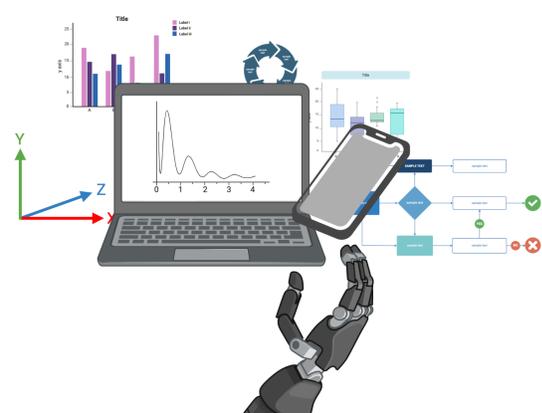
WP2 Comprensione della patogenesi dei carcinomi squamocellulari EB-associati, per identificare potenziali markers precoci e possibili target terapeutici



Verranno selezionati 3 pazienti con SCC affetti da EBD, 2 da EBG, 2 soggetti con ulcere croniche cancerizzate ("di Marjolin") e 2 soggetti affetti da SCC UV- indotti. A ciascun paziente, in corso di intervento chirurgico effettuato a scopo curativo, saranno prelevati campioni di cute sana e lesionale.

Campioni di cute sana e lesionale saranno analizzate mediante una delle tecnologie più innovative per la profilazione spaziale e molecolare in situ eseguita su tessuto. Questo metodo di profilazione spaziale, che combina dati di high-plex ed high-throughput, permetterà di valutare in modo rapido e quantitativo le implicazioni biologiche alla base degli SCC EB-correlati.

WP3 Sviluppo di una piattaforma innovativa di raccolta e analisi dei dati e di comunicazione da remoto coi pazienti e i loro caregiver a supporto della ricerca, della clinica, delle imprese biotecnologiche e degli stakeholder istituzionali.



Verranno sviluppati una app mobile e un'applicazione web (con relativa formazione) per la raccolta dei dati, e l'analisi dei dati forniti dai pazienti tramite tecniche di Intelligenza Artificiale e Machine Learning.