

UNIVERSITA' L'AQUILA: ACCORDO CON SISAF LTD PER TRATTAMENTO ALL'AVANGUARDIA OSTEOPETROSI

7 Settembre 2020



L'AQUILA - L'Università degli Studi dell'Aquila annuncia un accordo di licenza con SiSaf Ltd per sviluppare una terapia mediante "small interfering RNA (siRNA)" complessati con il Bio-Courier® di proprietà SiSaf, per il trattamento mirato di una patologia genetica ossea fortemente debilitante, denominata Osteopetrosi Autosomica Dominante di tipo 2 (ADO2).

Con quest'accordo, SiSaf ottiene un'opzione esclusiva per acquisire una licenza internazionale sulla sequenza dei siRNA brevettati dall'Università degli Studi dell'Aquila. L'Università degli Studi dell'Aquila e SiSaf Ltd, inventore di Bio-Courier®, una tecnologia che sfrutta la proprietà unica del silicone bio-assorbibile (14 Si) di superare i limiti dei sistemi convenzionali di somministrazione dei farmaci, annunciano oggi un accordo di licenza e sviluppo di una formulazione Bio-Courier-siRNA per ridurre l'espressione di un gene mutato, responsabile della patologia genetica ossea rara Osteopetrosi Autosomica Dominante di tipo 2 o ADO2.

L'osteopetrosi, letteralmente "ossa di pietra", anche nota come "morbo delle ossa di marmo" o "morbo di Albers-Schönberg", colpisce 1 individuo su 20.000.

E' caratterizzata da un forte aumento della densità delle ossa causato da un difetto del riassorbimento dell'osso da parte degli osteoclasti, un tipo di cellula che distrugge l'osso per consentirne il rinnovo.

Ciò induce un accumulo abnorme dell'osso che però risulta alterato nella sua architettura e fragile, quindi suscettibile di fratture patologiche, spesso accompagnate da dolore e deformità, le quali hanno un impatto deleterio sulla qualità di vita dei pazienti. Attualmente non esistono cure efficaci per il trattamento della malattia.

La Prof. ssa Anna Maria Teti ed i suoi collaboratori dell'Università degli Studi dell'Aquila studiano i disordini genetici dello scheletro e sono molto conosciuti a livello internazionale.

Essi hanno dimostrato l'efficacia di una terapia sperimentale dell'ADO2 basata sui siRNA in cellule umane e topi affetti dalla malattia. Per il trasferimento di questi risultati preclinici alla realtà clinica è però necessario ovviare alla difficoltà di ottenere una formulazione del siRNA che possa funzionare da farmaco nell'uomo.

La formulazione del siRNA con la tecnologia Bio-Courier di SiSaf consentirà di superare quest'ostacolo e di somministrare il farmaco ripetutamente senza il rischio di risposte immunitarie come quelle che si sviluppano utilizzando i vettori virali attualmente in uso per altre patologie genetiche.

Dice la Prof.ssa Teti "Questa è un'opportunità unica per la nostra Università di curare una patologia così rara, grave e finora inguaribile, trasformando i nostri risultati scientifici in una terapia tangibile. Ci attendiamo molto da questa collaborazione, tramite la quale desideriamo con forza raggiungere l'obiettivo di alleviare le sofferenze dei pazienti".

"Sono così entusiasta di aggiungere questo programma rivoluzionario ai nostri investimenti sulla terapia genica - dice Suzanne Saffie-Siebert, PhD, amministratore delegato di SiSaf -. Quest'accordo consolida l'ampio potenziale della nostra tecnologia di cambiare la terapia genica superando il limite intrinseco dei vettori virali, soprattutto nei trattamenti sistemici ricorrenti dei disordini autosomici dominanti, un segmento biotecnologico con enormi potenzialità. La Fondazione Telethon ha finanziato la ricerca della Prof.ssa Teti per molti anni consentendo al progetto di raggiungere l'attuale stato di sviluppo ed ha collaborato con l'Università degli Studi dell'Aquila nella trattativa. Francesca Pasinelli, Direttore Generale della Fondazione Telethon, dice: "Quest'accordo fra l'Università dell'Aquila e SiSaf dà ulteriore impulso alla nostra missione di tradurre la migliore ricerca scientifica sulle malattie genetiche rare in terapie sicure ed efficaci e di rendere queste disponibili per tutti i pazienti".