

Sistema CRISPR-Cas per l'editing genomico



UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI
FIRENZE



ISPRO
Istituto per lo studio, la prevenzione
e la rete oncologica

INVENTORI: Renieri Alessandra
Conticello Silvestro
Donati Francesco
Niccheri Francesca
Mari Francesca
Papa Filomena Tiziana
Lorenzetti Flaminia Clelia

CONTITOLARI: Istituto per lo Studio, la Prevenzione e la Rete
Oncologica (ISPRO); Università degli Studi di Firenze

STATUS PATENT: concesso in Italia

N° PRIORITÀ: IT201800009431

DATA DI CONCESSIONE: 14/09/2020

ESTENSIONE: Europa, Stati Uniti, Giappone

L'invenzione



L'invenzione riguarda un sistema "Clustered Regularly Interspersed Short Palindromic Repeat (CRISPR)-CRISPR associated (Cas) (CRISPR-Cas)" mirato verso una sequenza genomica bersaglio in una cellula eucariotica, ovvero un sistema utile a operare modifiche all'interno del genoma cellulare.

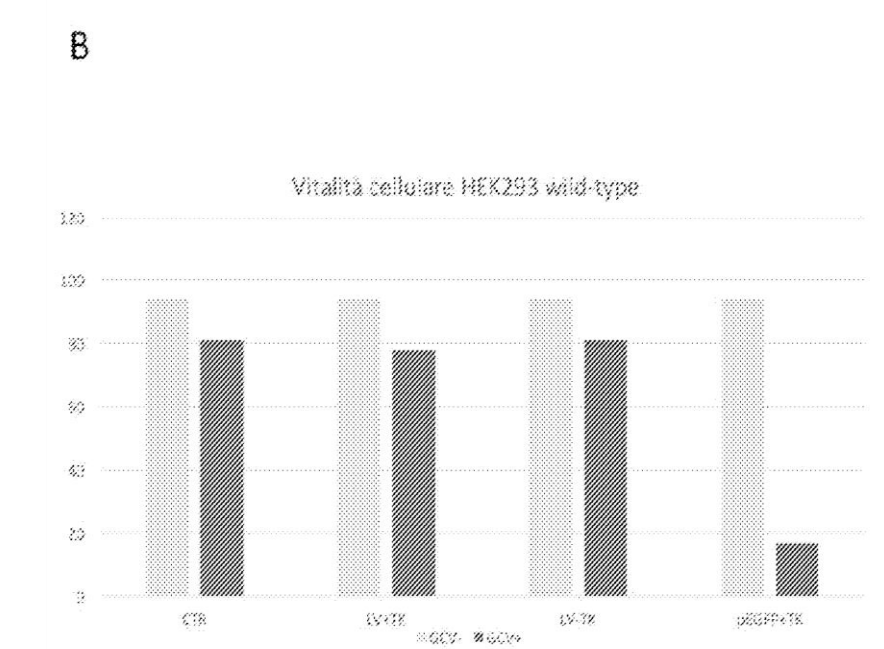
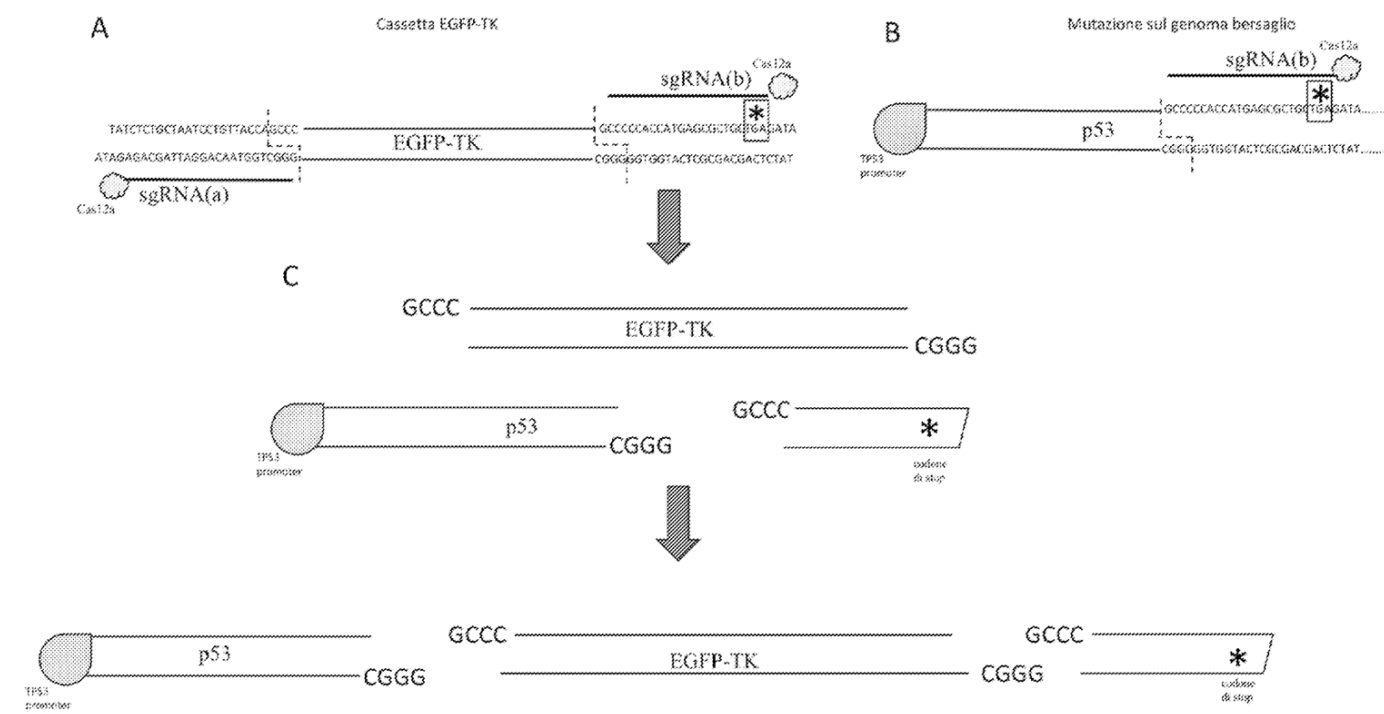
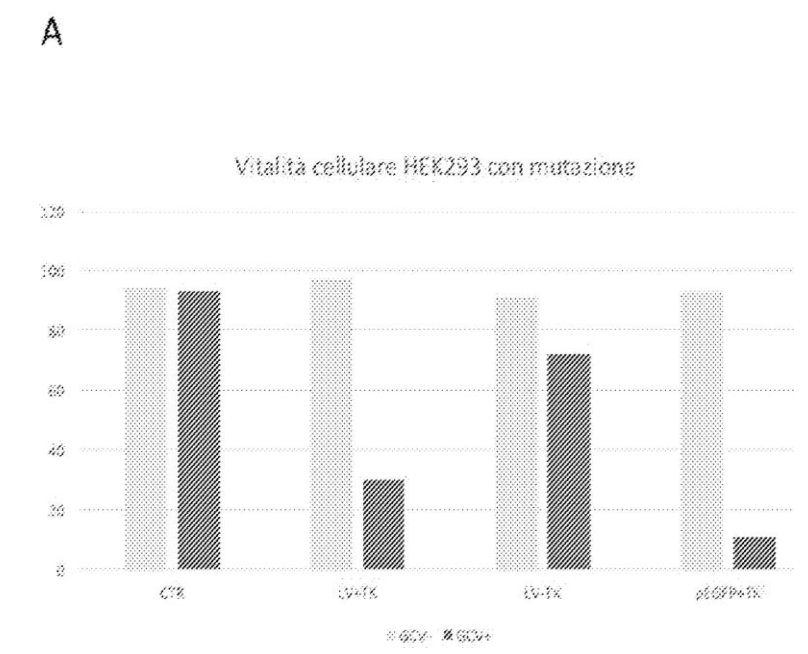
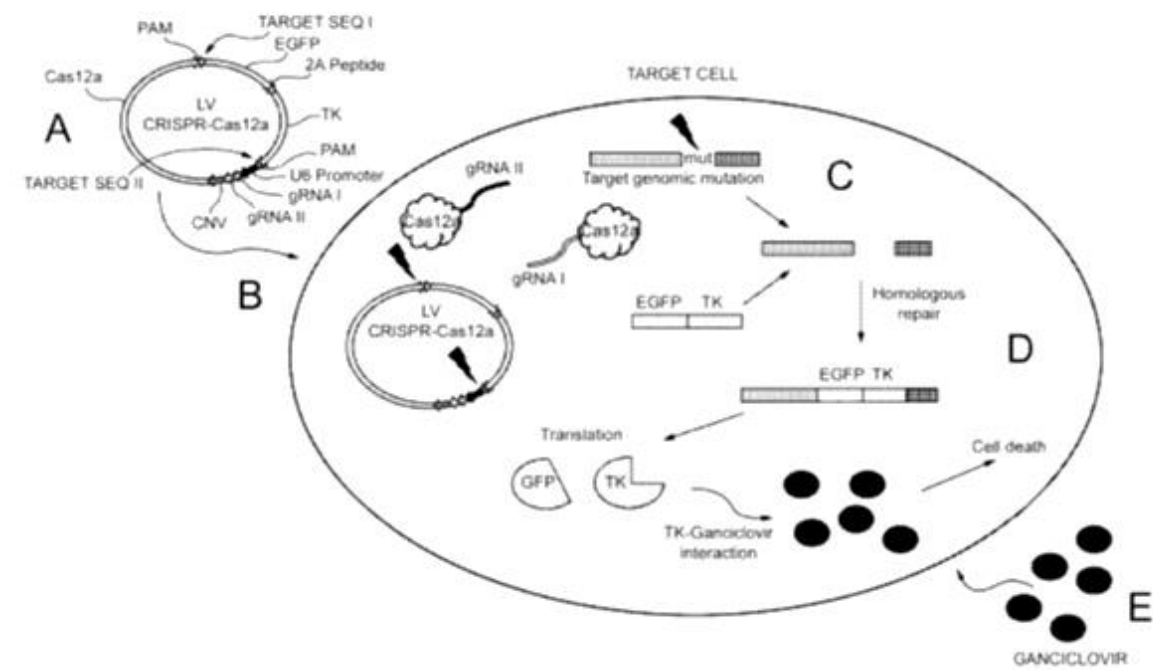
La tecnologia CRISPR è in grado di produrre tagli nel doppio filamento del DNA mediante l'impiego di una molecola di RNA, detto RNA guida (sgRNA), che guida un enzima endonucleasi, in questo caso l'enzima Cpf1, verso uno specifico sito bersaglio sul genoma.

In questo contesto la tecnologia CRISPR sfrutta il sistema di riparazione del DNA ospite per l'inserimento *in-frame* di un gene suicida (e.g. timidina chinasi) nel genoma di cellule con specifiche mutazioni al fine di stimolare, in risposta ad un induttore specifico (e.g. ganciclovir) la morte di quelle stesse cellule.

Il gene suicida è inoltre ulteriormente ingegnerizzato alla sua estremità 5' per sostituire eventuali mutazioni nonsense al livello del locus di inserimento desiderato e permettere quindi la corretta espressione sito-specifica della proteina suicida.

Il sistema è inoltre veicolato da vettori (lenti)virali opportunamente modificati per incrementare la specificità di trasduzione nelle cellule bersaglio; inoltre, il sistema è capace di auto-inattivarsi attraverso l'azione dell'enzima Cas sulla propria sequenza di DNA.

Disegni e Immagini

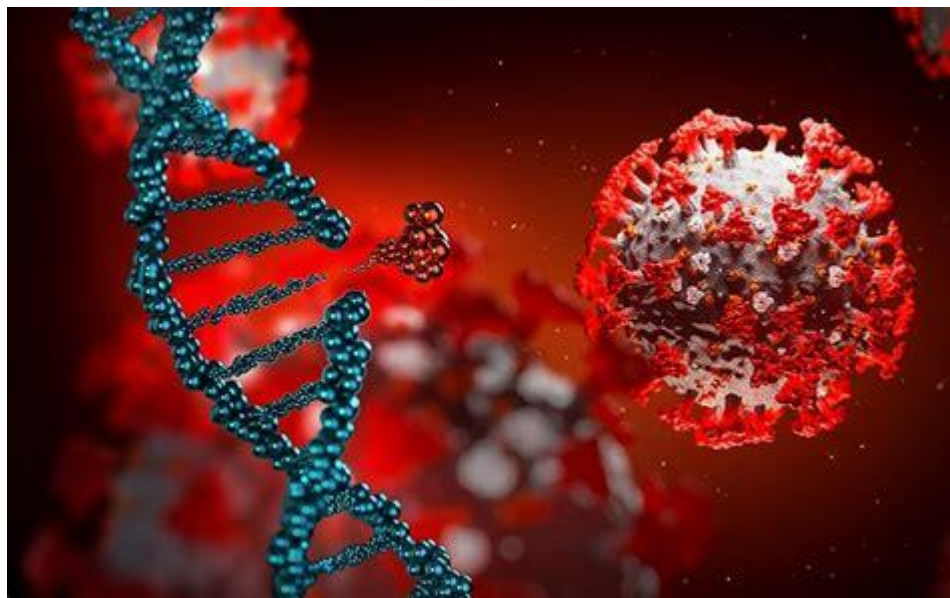


Applicabilità Industriale



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 neoplasie difficili da trattare (e.g. la leucemia linfatica cronica a cellule B, o B-CLL). In questo caso, l'inserimento del gene suicida risulterà nell'ablazione del clone leucemico senza però intaccare le altre cellule non leucemiche e sfruttando la presenza di specifiche mutazioni nel gene p53.



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 e facilitarne l'immissione nel tessuto industriale.

Il gruppo è alla ricerca di partners industriali operanti nell'ambito farmaceutico interessati a collaborare per la suddetta maturazione tecnologica dell'invenzione.

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 Banchi di Sotto 55, 53100 Siena ITALIA

Sito web: <https://www.unisi.it/>

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

