

"NATIONAL CENTER FOR GENE THERAPY AND DRUGS BASED ON RNA TECHNOLOGY"

DEVELOPMENT OF GENE THERAPY AND DRUGS WITH RNA TECHNOLOGY



TARGET:

The research program has two main goals: increasing the technological know-how necessary to design and deliver RNA-based and gene therapy medicinal products and identifying promising candidate drugs/genes in

five major areas of human diseases (genetic diseases, cancer, metabolic/cardiovascular diseases, neurodegenerative disorders and inflammatory/infectious diseases).

The past few decades have seen a dramatic shift in the view of how human disorders can be treated. Molecularly personalized treatments, developed through a global rethinking of pharmacology, have become an ambitious goal for greatly increasing the efficacy of cures. The need for highly specific new drugs stems from the astounding advancements in the understanding of the molecular and cellular events responsible for human diseases.

Indeed, large molecular diversity is not the exclusive hallmark of rare, inherited disorders but underlies the pathogenesis of the most common human diseases. The case of cancer is exemplary: it has become clear that neoplastic diseases with a similar clinical and phenotypical appearance, may differ from each other for the set of oncogenes and tumor suppressor genes involved through different pathogenic mutations, and innovative approaches targeting specifically the altered protein, or even the genetic mutations, show high efficacy.

Thus, the development of drugs specific for a wide range of targets has become not only the principle of treatment of rare disorders, often neglected in the priorities of pharmaceutical companies, but also the basis of a global new approach to cure, appropriately defined “precision medicine”. For this task, it is necessary to explore therapeutic strategies that go beyond the laborious identification of small chemical molecules fitting critical regulatory domains of enzymes, transporters and channels. Rather, a change in paradigm is needed, with the development of a class of drugs that share common synthetic and delivery platforms and can act, in principle, on any class of proteins with unprecedented accuracy.

Clearly, the extraordinary power and flexibility of nucleic acids have made these molecules the ideal tools for this task, with a virtually limitless breadth of applications. The impact of RNA-based vaccines in the containment of the COVID-19 pandemic has provided direct, impressive evidence of how RNA-based drugs for specific targets can be rapidly and effectively developed.

SECTION PARTNERS

TOTAL NO. OF PARTNERS: 49

Proposer: Università degli Studi di Padova

Participants

PUBLIC SUBJECTS

Universities

Università degli Studi di Padova

Università Magna Grecia

Università di Bari

Università di Bologna

Università di Brescia

Università di Cagliari

Università della Campania - Vanvitelli

Università G. D'Annunzio

Università di Catania

Università di Firenze

Università Statale di Milano

Università Milano Bicocca

Università di Modena e Reggio Emilia

Università di Napoli Federico II

Università di Palermo

Università di Pisa

Università di Pavia

Sapienza Università di Roma

Università di Roma Tor Vergata

Università di Salerno

Università di Siena

Università di Torino

Università di Trieste

Università di Verona

Research Institute:

- Consiglio Nazionale delle Ricerche

PRIVATE ACTORS:

Research Institutes

Università Vita-Salute San Raffaele

Humanitas University

Istituto Italiano di Tecnologia
Ospedale Pediatrico Bambino Gesù
Fondazione Ri.MED
Fondazione Tettamanti
Fondazione Telethon

Companies

Dompè Farmaceutici SpA

Takis Biotech Srl

Chiesi Farmaceutici SpA

Eurofins Biolab Srl

Novartis International AG

Pfizer INC

Stevanato Group SpA

PBL Srl

Innovavector Srl

Sanofi

Astrazeneca

Bracco SpA

BioNTech

Antares Vision Group Spa

Orgenesis Italy Srl

IRBM SpA

Intesa Sanpaolo Spa

SPOKE

Spoke n. 1: Genetic Diseases

Leader spoke: Università di Modena e Reggio Emilia

Spoke members:

Telethonigem

Università di Bari

Università di Bologna

Università Cagliari

Università di Milano

Università di Napoli

Università di Padova

Università di Siena

Spoke n. 2: Cancer

Leader spoke: Università di Milano

Spoke co-Leader Università di Roma La Sapienza

Spoke members:

Consiglio Nazionale delle Ricerche

Università Magna Grecia di Catanzaro

Università di Bari

Università di Bologna

Università di Brescia

Università di Catania

Università di Firenze

Università di Modena e Reggio Emilia

Università di Napoli

Università di Padova

Università di Pisa

Università di Siena

Università di Torino

Università di Trieste

Università della Campania - Vanvitelli

Spoke n. 3 Neurodegeneration

Leader spoke: Istituto Italiano di Tecnologia

Spoke members

Consiglio Nazionale delle Ricerche

Università Magna Grecia

Università di Bari

Università di Bologna

Università di Firenze

Università di Milano

Università di Napoli Federico II

Università di Padova

Università di Pisa

La Sapienza Università di Roma

Università di Torino

Spoke n. 4: Metabolic and cardiovascular diseases

Leader spoke: Università degli Studi di Padova

Spoke members

Università di Padova

Humanitas University

Fondazione Ri.MED

Università Magna Grecia

Università di Bari

Università Statale di Milano

Università di Napoli Federico II

Università di Pavia

Università di Salerno

Università di Trieste

Spoke n. 5 Inflammatory and infectious diseases

Leader spoke: Università degli Studi di Siena

Spoke members

Humanitas University

Università di Firenze

Università Statale di Milano

Università di Napoli Federico II

Università di Padova

Università di Roma Tor Vergata

Università di Verona

Spoke n. 6 RNA Drug Development

Leader spoke: Consiglio Nazionale delle Ricerche

Spoke members

Istituto Italiano di Tecnologia

Fondazione Ri.MED

Università degli Studi di Padova

Università di Bari

Università di Bologna

Università di Napoli Federico II

Università di Roma Tor Vergata

Università di Siena

Istituto Italiano di Tecnologia

Spoke n. 7 Biocomputing

Leader spoke Università di Bari

Spoke members

Consiglio Nazionale delle Ricerche

Università Statale di Milano

Università degli Studi di Padova

Università di Napoli Federico II

Università di Roma Tor Vergata

Istituto Italiano di Tecnologia

Spoke n. 8: Platform for RNA/DNA delivery

Leader spoke Università di Napoli Federico II

Spoke members:

Consiglio Nazionale delle Ricerche

Istituto Italiano di Tecnologia

Università Statale di Milano

Università Milano Bicocca

Università di Palermo

Università degli Studi di Padova

Università di Pisa

Università di Salerno

Università di Torino

Antares Vision Group Spa

Spoke n. 9 From target to therapy: pharmacology, safety and regulatory competence center

Leader spoke UNIMI

Spoke members

Consiglio Nazionale delle Ricerche

Humanitas University

Università degli Studi di Padova

Università di Napoli Federico II

Università di Pavia

La Sapienza Università di Roma

Spoke n. 10 Preclinical development, GMP manufacturing and clinical trials of GTMP

Leader spoke Ospedal Pediatrico Bambino Gesù

Spoke members:

Consiglio Nazionale delle Ricerche

TELETHO N-TIGET

Fondazione Tettamanti

Università G. D'Annunzio

Università degli Studi di Padova

Università Vita-Salute San Raffaele

Università della Campania – Vanvitelli

FINANCIAL DATA (by concession decree)

Total amount: € 328.814.550,46

MUR grant: € 320.036.606,03

Project calls: 10% of project amount
