



Finanziato  
dall'Unione europea  
NextGenerationEU



Ministero  
dell'Università  
e della Ricerca



Italiadomani  
PIANO NAZIONALE  
DI RIPRESA E RESILIENZA



Finanziamento concesso con Decreto Direttoriale di concessione del finanziamento n.1035 del 17.06.2022 a valere su PNRR MUR –"M4C2"– Investimento 1.4 – Avviso ""Centri Nazionali"" - D.D. n. 3138 del 16 dicembre 2021 rettificato con D.D. n. 3175 del 18 dicembre 2021.

Domanda di agevolazione contrassegnata con codice CN00000041 "**National Center for Gene Therapy and Drugs based on RNA Technology**", Tematica "*Sviluppo di terapia genica e farmaci con tecnologia a RNA*".

CUP UNINA: E63C22000940007

***Iniziativa finanziata dall'Unione europea – NextGenerationEU.***

**TEMATICA:** Platform for DNA/RNA delivery

Gli enormi avanzamenti degli ultimi decenni nella comprensione degli eventi molecolari e cellulari responsabili dell'insorgenza di numerose patologie ereditarie umane hanno portato ad un cambiamento drammatico nella visione di come tali patologie possano essere trattate. Tra gli approcci terapeutici innovativi di recente sviluppo, la terapia genica, che permette di intervenire a livello molecolare sostituendo il gene difettivo nelle cellule malate, ha assunto un ruolo chiave. Nonostante gli sviluppi tecnologici, però, esistono ancora molte limitazioni all'ampio utilizzo della terapia genica per il trattamento di diverse patologie umane. Sulla base di queste considerazioni, l'obiettivo di questa tematica di ricerca è quello di sviluppare nuove piattaforme di terapia genica, basate sull'editing genomico, per implementare l'utilizzo dei vettori adeno-associati, ad oggi considerati vettori di riferimento per la terapia genica.