

PIONIERI

Piattaforma Innovativa per Patologie Oncologiche, Neurodegenerative e dell'Invecchiamento

Finanziamento e durata

Il progetto **PIONIERI** è finanziato da Regione Lombardia nell'ambito del programma regionale FESR 2021-2027 Asse 1 - "un'Europa più competitiva e intelligente" obiettivo specifico 1.1 "Sviluppare e rafforzare le capacità di ricerca e di innovazione e l'introduzione di tecnologie avanzate" Azione 1.1.3. "Sostegno all'attuazione di progetti complessi di ricerca, sviluppo e innovazione" - bando "Collabora & Innova".

Durata: 01/09/2025 - 12/11/2027

Partenariato

Centro Capofila:	Fondazione IRCCS Istituto Neurologico C. Besta BIOMERIS S.R.L. EUROFINS BIOLAB S.R.L.
Centri Partner:	Consiglio Nazionale delle Ricerche Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori ASST Fatebenefratelli Sacco
P.I. per la Fondazione Besta:	prof. Giuseppe Lauria Pinter

Sintesi del progetto

Negli ultimi anni, oltre 40 terapie geniche sono state approvate per uso clinico, un numero destinato a crescere esponenzialmente grazie ai progressi nella genomica e alle innovazioni tecnologiche. Oggi, la sfida non è più produrre acidi nucleici capaci di correggere difetti genetici ma migliorare la qualità dei vettori che trasportano questi acidi nucleici nelle cellule per modificare l'espressione dei geni responsabili delle patologie.

I vettori più comuni sono virus modificati che garantiscono alta efficienza di trasduzione ed espressione genica nelle cellule bersaglio. Questi comportano però rischi significativi, quali reazioni immunitarie, che ne impediscono la somministrazione in alcuni casi o ne limitano l'efficacia, precludendo le cure a tutti i pazienti eleggibili. Possono indurre mutagenesi inserzionale, ovvero causare alterazioni del genoma

ospite e indurre neoplasie o altre patologie. Inoltre, la produzione e conservazione di vettori virali richiedono infrastrutture e processi complessi che ne aumentano i costi e ne limitano l'accessibilità. L'esigenza di sviluppare vettori non virali è quindi pressante. Nanoparticelle lipidiche e polimeriche offrono molteplici vantaggi: riducono il rischio di reazione immunitaria e mutagenesi, sono più semplici da produrre e conservare e sono più economiche. Sebbene abbiano finora mostrato un'efficacia inferiore rispetto ai vettori virali, i recenti progressi tecnologici li stanno rendendo una valida alternativa. **PIONIERI** si inserisce nel campo delle biotecnologie innovative con l'ambizione di rendere le terapie geniche più sicure ed economicamente sostenibili. PIONIERI punta ad incrementare il livello di maturità tecnologica (TRL) di VibroFect, una tecnologia brevettata per la produzione di vettori non virali altamente innovativi, per il suo utilizzo clinico attraverso analisi di tossicità, biodisponibilità ed efficacia incluse nel processo regolatorio GLP e GMP per la certificazione da parte delle agenzie competenti (AIFA, EMA, FDA), e passare dalla fase sperimentale a quella clinica. PIONIERI contribuirà alla competitività dell'ecosistema lombardo nel mercato globale dei vettori genici, stimato ad oggi in oltre 5 miliardi di dollari e previsto superare i 20 miliardi entro il 2034, con una crescita annuale del 15%. Le analisi saranno condotte su tre aree patologiche principali – neurodegenerativa, legate all'invecchiamento e oncologica – ciascuna comprendente due condizioni ben definite caratterizzate da diversi livelli di avanzamento verso terapie geniche mirate. Il primo obiettivo è portare VibroFect al TRL utile ad ottenere la certificazione per l'uso nelle terapie geniche per l'atrofia muscolare spinale (SMA), già disponibili per i pazienti, sostituendo i vettori virali adeno-associati. Le attività scientifiche, guidate dai processi regolatori, saranno sfruttate per estendere l'applicabilità di VibroFect ad altre patologie come sclerosi laterale amiotrofica (SLA), progeria e cancro, passando dagli studi in vitro ai modelli animali e perfezionandone l'uso fino alla preparazione per studi clinici di fase 1. Il progetto contribuirà a una maggiore comprensione dei meccanismi molecolari alla base delle patologie neurodegenerative, legate all'invecchiamento e oncologiche, offrendo prospettive per l'identificazione di nuovi target terapeutici in patologie prive cure efficaci. Infine, diventerà un benchmark per lo sviluppo di un nuovo approccio alla terapia genica in molteplici altre aree. PIONIERI si basa su una rete consolidata di eccellenze nella ricerca di base, clinica e industriale. Grazie a un approccio integrato e innovativo, mira a colmare il divario tra ricerca e applicazioni cliniche, favorendo lo sviluppo di nuove opportunità nella medicina avanzata. Il progetto punta a creare soluzioni efficaci per patologie invalidanti, generando benefici concreti per i pazienti e contribuendo al progresso scientifico, tecnologico ed economico della Regione Lombardia.

Il progetto PIONIERI è realizzato con il contributo del Programma Regionale del Fondo Europeo di Sviluppo Regionale/PR FESR 2021-2027 di Regione Lombardia, bando "COLLABORA E INNOVA"

link al sito del programma www.fesr.regione.lombardia.it

