

N2ERT - Piattaforma per la prototipizzazione di Nanomedicine per proteine terapeutiche: la terapia enzimatica sostitutiva per malattie rare neurometaboliche

Abstract

Le terapie enzimatiche ad oggi disponibili per le malattie rare portano come indicazione terapeutica i “sintomi periferici”. Questo perché le molecole proteiche, come gli enzimi, non passano la barriera ematoencefalica che separa il cervello dalla circolazione sistemica.

Il progetto N2ERT ha lo scopo di caricare queste proteine terapeutiche in nanoparticelle biodegradabili capaci di passare la barriera ematoencefalica. L’obiettivo finale è lo sviluppo di una piattaforma integrata di produzione, valutazione e validazione di nanomedicine avanzate per veicolare proteine terapeutiche per il trattamento delle malattie rare legate a una carenza enzimatica.



Impatti

Nel 70% delle malattie rare sono presenti sintomi neurologici sensitivi, motori e cognitivi che in molti casi insorgono fin dall’infanzia e la cui gravità progressivamente aumenta. Le terapie enzimatiche sostitutive approvate fino ad oggi, ad esempio per le malattie da accumulo lisosomiale, riportano l’indicazione “per sintomi periferici”.

Obiettivo ultimo di N2ERT è ingegnerizzare gli enzimi terapeutici con nanoparticelle istruite per il passaggio della barriera ematoencefalica (nanomedicine). Funzionale a questo obiettivo è l’allestimento di due piattaforme tecnologiche, una dedicata allo sviluppo e produzione, una seconda dedicata ai test di attività biologica di nanomedicine.

Le piattaforme tecnologiche N2ERT potranno essere utilizzate anche per altre patologie non previste in questo progetto, allargando il bacino di utenti che potranno beneficiare di questi risultati.

Partners

Capofila:

- *Fondazione IRET l’Occhio della Conoscenza sul Cervello ETS*

Beneficiari:

- *Alma Mater Studiorum – Università di Bologna CIRI SDV (Centro Interdipartimentale per la Ricerca Industriale Scienze della Vita e Tecnologie per la Salute)*
- *Università di Modena e Reggio Emilia – CIDSTEM (Centro Interdipartimentale Cellule Staminali e Medicina Rigenerativa)*

Imprese:

- *Chiesi Farmaceutici S.p.a.*
- *TransMed Research S.r.l.*

Il progetto N2ERT è co-finanziato dal Fondo europeo di sviluppo regionale PR FESR 2021-2027, AZIONE 1.1.2. della Regione Emilia-Romagna (DGR 2097/2022 e DGR 111/2023 – CUP E77G22000620007).



CENTRO INTERDIPARTIMENTALE DI RICERCA INDUSTRIALE SCIENZE DELLA VITA E TECNOLOGIE PER LA SALUTE

