



UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DI MILANO

*La Food and Drug Administration (FDA) approva l'utilizzo della tecnologia di gene-editing messa a punto presso la Temple University, dal prof. Kamel Khalili in collaborazione con il gruppo del prof. Pasquale Ferrante dell'Università Statale di Milano, e apre la strada alla prima sperimentazione della terapia basata su CRISPR per l'eliminazione dell'HIV nei pazienti umani*



Milano, 23 settembre 2021 - Negli ultimi sette anni, il prof. Kamel Khalili e il suo gruppo di ricercatori della Lewis Katz School of Medicine della Temple University di Philadelphia (USA) hanno sviluppato e perfezionato, anche in collaborazione con il prof. Pasquale Ferrante e il suo gruppo di ricerca dell'Università Statale di Milano, la tecnologia di gene-editing basata su CRISPR, per il trattamento dell'infezione da HIV, attraverso l'eradicazione del genoma del virus da quello delle cellule infettate.

Il dott. Khalili è un pioniere nello sviluppo della tecnologia di gene-editing basata su CRISPR per il targeting e l'eliminazione del genoma dell'HIV dalle cellule infette. Durante anni di studi preclinici, il dott. Khalili, insieme ai colleghi della Temple University e al prof. Pasquale Ferrante del dipartimento di Scienze Biomediche della Statale di Milano, hanno sviluppato il farmaco EBT-101, in grado di eradicare efficacemente il DNA provirale dell'HIV dai genomi di diverse cellule e tessuti, comprese cellule umane infette da HIV e cellule e tessuti di topi umanizzati.

La terapia potenzialmente rivoluzionaria EBT-101, è stata recentemente accettata, in fase sperimentale, da parte della FDA degli Stati Uniti, e potrebbe diventare la prima cura funzionale per l'infezione cronica da HIV. Infatti, l'approvazione della tecnica EBT-101 come farmaco sperimentale apre la strada ai primi studi clinici di Fase 1/2 di una terapia di editing genetico basata su CRISPR per l'infezione da HIV.

Ha commentato il prof. Ferrante: “La possibilità di testare questo trattamento nelle persone che vivono con l'infezione HIV rappresenta uno sviluppo entusiasmante ed è sicuramente di interesse per milioni di persone”. Gli studi clinici saranno avviati e gestiti da Excision BioTherapeutics, Inc., che è stato uno dei principali collaboratori di Temple University nello sviluppo di sistemi basati su CRISPR per il trattamento dell'HIV.