



UNIVERSITÀ
DI SIENA
1240



DIPARTIMENTO DI
SCIENZE MEDICHE, CHIRURGICHE
E NEUROSCIENZE

Dottorato di Ricerca in Medicina Traslazionale e di Precisione



Nome: Nicola

Cognome: Romanini

Ciclo: Dottorati di ricerca 39° ciclo 2023

Laurea: Chimica e Tecnologia Farmaceutiche

ORCID: 0000-0002-8522-0533

Progetto di Ricerca/Research Project

(ITA)

Sviluppo di una piattaforma di Genome Editing e Generazione di CAR-NK derivate da hiPSC

Lo studio mira alla creazione e all'ottimizzazione di una piattaforma per la produzione di terapie cellulari per affrontare le attuali sfide terapeutiche in oncologia a partire da iPSC. L'uso di iPSC nella produzione di terapie cellulari può superare molte limitazioni e far progredire il campo della terapia cellulare. L'eliminazione della variabilità donatore-dipendente, la suscettibilità alla manipolazione genica, l'elevata proliferazione e la versatilità sono i principali vantaggi di questo approccio. Anche se limitata a livello di ricerca, la piattaforma iPSC proposta sarà generata fianco a fianco con il team della Cell Factory dell'IRST per garantire la rapida e facile traslabilità nella nostra struttura GMP. Le iPSC possono essere utilizzate come fonti per molti prodotti di terapia cellulare, tra cui le cellule CAR-T. Abbiamo scelto di applicarle alla generazione di cellule NK, data la loro facile applicabilità in ambito allogenico. Questo, insieme alle modifiche genetiche proposte e alla terapia combinata con anticorpi, dovrebbe consentire di ottenere un prodotto terapeutico efficace con prestazioni citotossiche migliorate.



UNIVERSITÀ
DI SIENA
1240



DIPARTIMENTO DI
SCIENZE MEDICHE, CHIRURGICHE
E NEUROSCIENZE

(ENG)

Development of a Platform for Genome Editing and Generation of hiPSC-derived CAR-NK

The significance of this study is the creation and optimization of a research-grade iPSC platform for the production of cell therapies to address today's therapeutic challenges in oncology. The use of iPSCs in the production of cell therapies may overcome many limitations and advance the cell therapy field. Elimination of donor-dependent variability, susceptibility to gene manipulation, high throughput, and versatility are the main advantages of this approach. Although limited to the research level, the proposed iPSC platform will be generated side-by-side to the IRST Cell Factory team to guarantee its fast and easy translation to our GMP Facility. iPSC can be used as sources for many cell therapy products, including CAR-T cells. We chose to apply it to the generation of NK cells, given their easy applicability in the allogeneic setting. This together with the proposed genetic modifications and combined antibody therapy should end up delivering a powerful NK cell product with enhanced cytotoxic performance.

10/01/2024 Meldola (FC)

Nicola Ravanini