

## Università degli Studi di Perugia

### PNRR: consultazione per la raccolta di proposte progettuali

#### SCHEMA

<b>Proponente della proposta progettuale</b>	Barbara Cellini
<b>Dipartimento/Centro del Proponente/Coordinatore</b>	Dipartimento di Medicina e Chirurgia
<b>Dipartimenti/Centri potenzialmente coinvolti</b>	
<b>Eventuali collaborazioni pubbliche e/o private</b> (riportare eventuali partner istituzionali/imprenditoriali coinvolgibili nell'idea progettuale)	Gruppo Prof. Mauro Magnani, Dipartimento di Scienze Biomolecolari, Università di Urbino Gruppo Prof. Leonardo Salviati, Dipartimento di Salute della Donna e del Bambino, Università di Padova Diatheva srl, Cartoceto, PU EryDel, Bresso, MI, Italy
<b>Titolo (indicativo) della proposta progettuale</b>	Terapia enzimatica cellulosa-mediata per il trattamento di malattie del metabolismo degli aminoacidi
<b>Tematica/tematiche di prevalente interesse</b> (max 300 caratteri spazi inclusi)	Diagnostica e terapie innovative nella medicina di precisione. Il progetto prevede lo sviluppo di terapie innovative per malattie legate all'accumulo di sottoprodotti del metabolismo degli aminoacidi usando specifici enzimi in base al difetto presente nel paziente.
<b>Grado di T.R.L di partenza</b> (ove applicabile la scala TRL, descrivere il livello di maturità dell'ipotesi progettuale iniziale facendo riferimento ai gradi e alle declaratorie della scala TRL europea)	Il progetto partirà da un TRL 2, in quanto l'ipotesi tecnologica è ben formulata e supportata da dati preliminari, e si propone di arrivare al TRL4, con l'ottenimento di proof-of-concept in modelli ex-vivo e in vivo, e la validazione della tecnologia in un setting di laboratorio
<b>Sintesi (estrema) degli obiettivi e delle possibili ricadute nel territorio locale e/o nazionale</b> (descrivere i principali obiettivi, i risultati attesi e eventuali impatti di ricaduta; max 500 caratteri spazi inclusi)	Obiettivo: sviluppo di bioreattori basati su enzimi incapsulati all'interno degli eritrociti capaci di degradare prodotti del metabolismo aminoacidico presenti nel plasma a livelli tossici. Applicazione come proof-of-principle all'atrofia girata con l'uso di un enzima che degrada l'ornitina. Ricadute: creazione di una piattaforma per lo sviluppo di nuovi farmaci mirati al difetto del paziente con possibile applicazione a numerose malattie metaboliche ereditarie
<b>Costo complessivo del progetto</b> (riportare in k-euro l'ordine di grandezza: 100 k-e, 500 k-e, .....)	500 k-e
<b>Informazioni aggiuntive</b> (riportare ogni informazione ritenuta utile a rappresentare l'idea progettuale: es. eventuali finanziamenti nazionali/internazionali già ottenuti, eventuali partenariati nazionali/internazionali già consolidati intorno all'ipotesi progettuale; eventuali attività di ricerca commissionata in partenariati pubblico/privati collegati all'idea progettuale; eventuali brevetti collegati; collaborazioni in atto da lunga data etc. - max 500 caratteri spazi inclusi)	Il progetto proposto trarrà vantaggio da: -la collaborazione di lunga data fra il gruppo della prof. Cellini e quelli del Prof. Magnani e del Prof. Salviati, come testimoniato dalle numerose pubblicazioni in comune e da progetti nazionali precedentemente finanziati -la presenza di un finanziamento nazionale già ottenuto nell'ambito del bando FISR (FISR2019_04835) -collaborazioni con aziende leader nel campo delle biotecnologie