



Al via la sperimentazione nell'uomo della terapia di editing genetico per l'infezione da HIV

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 ed 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 ed 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 Dr. 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 professor 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.