

Salute 24
Innovazione biofarmaceutica

Malattie rare, la terapia a piccoli Rna ispirata dalla ricerca italiana

Traguardi. Coi finanziamenti Telethon, l'Università dell'Aquila ha brevettato una molecola e stretto un accordo di licenza con la biotech inglese Sisaf

Francesca Cerati

Un'esplosione di interesse per le terapie a Rna promette di affrontare una serie di malattie, in particolare quelle rare, oggi incurabili. Uno sforzo che non riguarda solo l'individuazione della molecola giusta, ma anche il vettore in grado di trasportarla in maniera efficace e sicura a destinazione. Per raggiungere questo risultato serve attivare un circolo virtuoso, cioè finanziare la ricerca di base, investire in innovazione e creare un network tra accademia e impresa.

Ed è quello che è accaduto alla biologa Anna Maria Teti, professore ordinario di Istologia all'Università dell'Aquila, che rientrata in Italia dopo un'esperienza negli Stati Uniti, con il suo team si è focalizzata sull'osteopetrosi, una grave malattia dello scheletro dovuta all'inattività degli osteoclasti, le cellule ossee che sostituiscono il tessuto vecchio con osso nuovo e garantiscono le normali funzioni dello scheletro.

Si tratta di una malattia genetica autosomica dominante, in cui dei due geni ereditati, uno solo è mutato, ma domina su quello funzionante.

«L'osteopetrosi, letteralmente "osso di pietra", nota anche come morbo di Albers-Schönberg, colpisce un individuo su 20mila - spiega Teti - Le nostre ossa sono cave, all'interno delle quali c'è il midollo osseo, cioè il tessuto che forma le cellule del sangue. Nell'osteopetrosi invece la cavità si riempie di osso e quindi c'è poco spazio per formare le cellule del sangue con conseguenze ematologiche. Non solo, nell'arco della nostra vita rinnoviamo il nostro scheletro almeno 10 volte perché l'osso invecchia e diventa fragile. Nell'osteopetrosi questo rinnovamento non avviene, per cui le ossa diventano estremamente fragili al punto che questi pazienti si

fratturano senza traumi anche 10-20 volte nel corso della vita. Inoltre, possono comparire disturbi neurologici, perché i nervi che dal cervello arrivano in periferia attraverso le ossa, se lo spazio è minimo, vengono compressi con conseguente sordità e cecità. Quindi da una malattia strettamente ossea si arriva in realtà a tutta una serie di sintomi che colpiscono altri organi vitali».

Come si può intervenire su questa malattia così invalidante? Fruttando l'Rna interferente (siRna) altamente specifico per la mutazione, che è in grado cioè di riconoscere e distruggere un frammento della molecola che darà la proteina del gene mutato. In questo modo funzionerà solo il gene recessivo, non interessato dalla mutazione.

«Ne abbiamo disegnati tanti e alla fine abbiamo trovato l'Rna che funziona proprio in questo modo, risultato confermato anche in modelli animali - riprende Teti - La Fondazione Telethon ci ha finanziato fin dall'inizio, ci ha aiutato a scrivere il brevetto, che è stato depositato e sostenuto dall'Università dell'Aquila, e ci ha messo in contatto con la biotech inglese Sisaf, proprietaria di una na-

Il farmaco ha ottenuto la designazione di farmaco orfano e di malattia pediatrica rara dall'Fda



Osteopetrosi. È caratterizzata da un aumento della densità ossea a causa di un difetto nel riassorbimento osseo da parte degli osteoclasti, le cellule che scompongono il tessuto osseo. Questo porta ad un accumulo di osso con un'architettura difettosa

nonparticella-vettore (Bio-Courier), con cui abbiamo stipulato un accordo di licenza per avviare gli studi clinici. Questo accordo è stato fondamentale perché la traduzione dei risultati preclinici positivi in una realtà clinica sostanzialmente è ostacolata dalla necessità di eliminare ripetutamente la copia mutante dell'mRna senza influenzare la copia sana, una sfida che accomuna tutte le malattie autosomiche dominanti. La formulazione di siRna con la tecnologia Bio-Courier

di SiSaf permette la somministrazione ripetuta senza il rischio di una risposta immunogenica associata ai vettori virali, l'attuale standard nella somministrazione della terapia genica».

La piattaforma tecnologica inglese sfrutta le proprietà del silicio, dei lipidi e degli aminoacidi bioassorbibili per migliorare la stabilità, la solubilità, la specificità e il rilascio controllato di molecole terapeutiche complesse come l'Rna. Le nanoparticelle si degradano grazie alla forma biodisponibile del silicio, impedendo l'accumulo di prodotti potenzialmente tossici o immunogeni e preservando l'integrità cellulare.

Questo valido esempio di valorizzazione della ricerca italiana e di trasferimento tecnologico ha già ottenuto la designazione di farmaco orfano e di malattia pediatrica rara dall'Fda, aprendo di fatto la strada a terapie per altre malattie autosomiche dominanti.

RIPRODUZIONE RISERVATA

CELEBRA LE MAMME «RARE»
Su www.telethon.it trovate le modalità di distribuzione o richiedere le confezioni di biscotti, che quest'anno compiono 10 anni, nella sezione shop solidale



Vaccino anti Covid-19: la risposta è individuale

Identikit genetico

La risposta al vaccino Covid è influenzata dalla costituzione genetica individuale, in particolare da alcuni geni associati al complesso maggiore di istocompatibilità, il sistema con cui l'organismo distingue le componenti proprie da quelle estranee. È quanto è emerso dallo studio coordinato dal Cnr di Segrate (Cnr-Itb) pubblicato su *Communications Medicine*. «Come per i farmaci, anche per i vaccini ogni individuo può rispondere in maniera più o meno efficace e questo è dovuto, almeno in parte, alle caratteristiche genetiche individuali», dice Francesca Colombo, ricercatrice del Cnr-Itb che ha guidato lo studio, condotto su 1351 operatori sanitari vaccinati nei primi mesi del 2021. Dalla ricerca è emerso che le caratteristiche del cromosoma 6 erano legate ai livelli di anticorpi anti-Covid. «Qui sono presenti geni che codificano per delle molecole presenti sulla superficie cellulare, coinvolte nella risposta immunitaria - aggiunge la prima firmataria dello studio Martina Esposito - Questi geni sono molto variabili ed esistono diverse combinazioni, alcune associate a livelli di anticorpi più alti, altre a livelli più bassi». Questo approccio può essere esteso anche ad altri vaccini, «nell'ottica di una vaccinazione di precisione supportata dalla vaccinogenomica», aggiunge Massimo Carella, vice-direttore scientifico della Fondazione Casa Sollievo della Sofferenza.

RIPRODUZIONE RISERVATA

INFORMAZIONE PROMOZIONALE

PARITÀ DI GENERE - Imprese certificate che hanno fatto propri i principi dell'uguaglianza

Promuovere politiche che favoriscano l'uguaglianza di genere nei luoghi di lavoro

La parità di genere è un principio fondamentale che promuove l'uguaglianza tra uomini e donne in tutti gli aspetti della società. Questo concetto mira a eliminare discriminazioni e disparità di trattamento basate sul genere, garantendo opportunità e diritti uguali per entrambi i sessi. Attraverso la parità di genere, si cerca di creare un mondo in cui uomini e donne possano godere degli stessi diritti, delle stesse opportunità di sviluppo personale e professionale, e partecipare attivamente alla vita sociale, politica ed economica. Lavorare verso la parità di genere non è solo una questione di giustizia, ma anche di progresso e sviluppo sostenibile per l'intera società. È un impegno che richiede la collaborazione di tutti, affinché uomini e donne possano contribuire pienamente e equamente alla costruzione di un mondo più giusto e inclusivo per le generazioni presenti e future.

Il Gruppo Amenduni Steel abbatte le barriere di genere

Il 21 dicembre 2023 il gruppo Amenduni Steel di Brescia ha ottenuto la Certificazione per la Parità di Genere rilasciata da Accredia per le sue società: ATA Srl, Tecnotubi Spa, Zinchitalia Spa, Alessio Tubi Spa.

In questo modo si conferma la sensibilità verso le problematiche legate alle pari opportunità di carriera e di trattamento economico, alla creazione e mantenimento di un ambiente di lavoro libero e garante della diversità e dell'inclusione. Tutte le aziende si impegnano ad adottare politiche atte a prevenire ogni discriminazione all'interno del luogo di lavoro e a garantire l'empowerment femminile così da migliorare la possibilità per le donne di armonizzare i tempi di vita e lavoro.

"In un contesto industriale caratterizzato da una forte presenza maschile, il nostro Gruppo sostiene il potenziamento umano e professionale soprattutto delle risorse femminili. Siamo consapevoli che l'impegno assunto per abbattere le barriere che impediscono la parità di genere, favorirà lo sviluppo sociale e culturale del nostro territorio. Un grazie a tutte le donne e agli uomini che hanno permesso questo importante risultato" afferma l'AD Dott.ssa **Giisella Conte**. - www.amendunitubi.it



Gruppo Amenduni Steel. Dott.ssa Giisella Conte, AD

A SOFTWARE FACTORY la Digital Consulting per la PA che mette al centro parità di genere e uguaglianza

A Software Factory Srl è una realtà altamente specializzata nella Digital Consulting & Transformation per il mondo della PA. Da più di 30 anni, progetta e sviluppa soluzioni digitali innovative e offre servizi di consulenza specializzata agli enti locali, rispondendo in modo flessibile e rapido alle sfide di un mercato in continua evoluzione e in un contesto di concorrenza sempre più serrato.

La filosofia di gestione delle risorse umane di A Software Factory è garantire che tutti i dipendenti possano realizzare il proprio potenziale in un ambiente lavorativo motivante e creativo. Per questo, l'azienda assicura stesse opportunità a tutti i lavoratori, indipendentemente dal loro genere, per quanto riguarda assunzioni, promozioni, formazione e sviluppo professionale; garantisce che uomini e



donne siano pagati equamente per lavoro di pari valore attraverso verifiche periodiche e trasparenza nella struttura delle retribuzioni; promuove flessibilità oraria, smart working e congedi parentali che aiutino a bilanciare le esigenze di vita professionale e personale. Per l'impegno profuso nelle sue politiche di parità di genere ha ottenuto l'ambita certificazione UNI/PdR 125:2022. www.asfweb.it

Gruppo AUTOSPED G traccia la strada verso un ambiente lavorativo inclusivo e paritario

Il 3 novembre 2023 Autosped G Spa e G&A Spa hanno ottenuto la Certificazione sulla Parità di Genere e sono state tra le prime società di trasporti ad ottenere la UNI/PdR 125:2022.

Come sottolineato da **Luca Giorgi**, AD di Autosped G e **Romeo Agogliati**, AD di G&A: "Il management delle Società ha voluto fortemente avviare questo processo di cambiamento prima culturale, poi strategico e organizzativo, con l'obiettivo di rendere l'ambiente di lavoro più inclusivo e paritario".

Per raggiungere un modello che promuove la parità e la creazione di maggior valore sostenibile, il CDA ha nominato il Comitato Guida Parità di Genere. Riunendosi a cadenza semestrale, il comitato ha il compito di monitorare, promuovere e implementare interventi a favore delle risorse in tema di parità di genere e contrasto della discriminazione, oltre a



Il Gruppo Autosped G, il comitato

raccolgere segnalazioni in caso di discriminazioni e molestie. L'ottenimento della certificazione per il Gruppo Autosped rappresenta non solo un lavoro di squadra portato avanti con successo, ma anche un driver di sviluppo, che conferma la centralità della persona nell'attività aziendale. www.gruppoautospedg.com

ALIMENTA PRODUZIONI un impegno concreto contro discriminazione e disparità di genere

Nata nel 2013, Alimenta Produzioni è leader nel mercato della Piadina IGP e della Pinsa, offrendo specialità e prodotti tipici della tradizione regionale e artigianale italiana.

Il 2 novembre 2023 ottiene la Certificazione di Parità di Genere, a coronamento di un percorso avviato in collaborazione con l'azienda di consulenza Bilanciarsi e rilasciata dall'ente di certificazione accreditato Uniter. L'impegno è rivolto al miglioramento del benessere dei dipendenti sul luogo di lavoro, parità di genere a 360°, valorizzazione delle diversità. L'obiettivo principale è dar voce alle persone e avere un confronto continuo per migliorare il welfare aziendale. Alimenta ha obiettivi misurabili attraverso specifici KPI per aree tematiche: selezione e assunzione, gestione della carriera, equità salariale, genitorialità, conciliazione vita-lavoro (flessibilità oraria e part-time),



Alimenta Produzioni. Il Team

prevenzione di ogni forma di abuso fisico, verbale e digitale nei luoghi di lavoro, formazione. Fornisce inoltre ai collaboratori premi di produzione e buoni spesa. La certificazione è apprezzata dai clienti che prediligono aziende che fanno propri i principi di uguaglianza e inclusione. www.alimentaproduzioni.it

ARCHÈ: crescere e migliorare attraverso la parità di genere

In un Paese dove si fatica a raggiungere la parità di genere, riveste sempre maggiore importanza colmare questo divario soprattutto nel mondo lavorativo. La prosperità di ogni impresa dipende sempre più dal raggiungimento degli Obiettivi di Sviluppo Sostenibile (Agenda 2030 Obiettivo 5).

Archè, presente da 15 anni su tutto il territorio nazionale, è un'azienda specializzata nell'offerta di servizi integrati per la sicurezza sul lavoro (D.Lgs 81/08) e nell'ambito della compliance aziendale. Archè, con un pacchetto completo supporta qualsiasi tipo di Organizzazione nell'intero processo di certificazione, coprendo un'ampia varietà di standard, tra cui la parità di genere (UNI/PdR 125). Certificata PdR, Archè vive e promuove questo tema con l'obiettivo di valorizzare i rapporti lavorativi e migliorare le performance aziendali. La certificazione PdR



oltre a benefici economici, contribuisce a creare un ambiente lavorativo più equo, inclusivo e diversificato. È per questo che sempre più aziende si rivolgono a società di consulenza specializzate come Archè per consolidare politiche inclusive e promuovere la parità di genere in tutti gli aspetti di business. www.arche-inweb.com

BERTI 1 al centro della politica aziendale: legalità, sostenibilità, trasparenza e pari opportunità

Nata nel 2019 e confluita in UPZ Holding di **Umberto Petricca**, imprenditore italiano con attività in Nord e Sud America, Bertì 1 opera sia come General Contractor che direttamente in cantiere con obiettivo il mercato delle grandi opere infrastrutturali. È dotata di tutti gli strumenti di trasparenza: **9001:2015** Gestione Qualità **45001:2018** Gestione Salute e Sicurezza sul Lavoro **37001:2016** Gestione Prevenzione della Corruzione **14001:2015** Gestione Ambientale **UNI/PDR 125:2022** Parità di Genere; Certificazione ESG; Iscrizione Anagrafe Antimafia Ministero dell'Interno; SOA in OG1 affiancata, ove necessario, dal Consorzio Innova di Bologna; Codice Etico interno; Organismo di Vigilanza ai sensi della L. 231/2001; Rating di Legalità 2 Stelle++ rilasciato da AGC; Adesione alla direttiva Europea sul



Whistleblowing; Welfare Aziendale; Revisione contabile e fiscale affidata a KPMG. È impegnata nella ricostruzione post sisma 2009 e 2016 del Centro Italia, con interventi privati in ambito PNRR e nelle gare pubbliche. È parte di UPZ Holding insieme a ITACOM Società Commerciale, UPT Ingegneria, VENECOM Società di Servizi e al Gruppo editoriale ABRUZZIA (canale televisivo visibile in Abruzzo e Molise, una radio e un sito di informazione online). Fuori dalla Holding rimangono CADEA-GRO Società agricola e UPZ Investment, primo socio privato dell'Istituto di Credito Romano Banca Fucino. - www.berti1 srl