

Progetto: “Laboratorio Pubblico per l’identificazione di inibitori del pathway dell’oxygen sensing per la terapia di malattie rare”

Progetto di ricerca ad alto contenuto scientifico e tecnologico che si ripropone di effettuare una sperimentazione di nuove molecole farmacologiche attive per patologie rare che coinvolgono il pathway dell’Oxygen Sensing. In particolare tale progetto avrà come end-point principali l’identificazione di una o più molecole a carattere inibitorio su tale pathway da poter utilizzare nella cura della Policitemia di Chuvash nonché l’acquisizione di macchinari e di competenza professionali per la realizzazione di un Laboratorio.

Il progetto si articola in 4 fasi, riportate nell’ordine temporale in cui si propone lo sviluppo:

- 1- Screening di una library specifica ed individuazione di molecole ad effetto potenzialmente inibitorio sulle vie controllate dalla tensione di ossigeno.
- 2- Valutazione in vitro dell’efficacia delle molecole individuate mediante l’effettuazione di saggi di attività su colture cellulari e selezione delle molecole a maggiore attività inibitoria (lead compound).
- 3- Valutazione in vivo dell’attività dei lead compound su un modello murino di overespressione di HIF.
- 4- Valutazione in vivo dell’attività delle molecole a maggiore attività e minore tossicità individuate al punto 3 su colture di progenitori eritroidi ottenute da pazienti affetti da Policitemia di Chuvash.