

Poster P.28.157

SR-TIGET INSTITUTE OVERVIEW

Paniccia A.^[1], Naldini L.^[2]

^[1]San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy, IRCCS San Raffaele Scientific Institute; Fondazione Telethon ~ Milan ~ Italy, ^[2]San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy, IRCCS San Raffaele Scientific Institute, Milan; Vita-Salute San Raffaele University, Milan ~ Milan ~ Italy

The San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy (SR-Tiget) was created in 1995 as a joint-venture between the Telethon Foundation and the San Raffaele Scientific Institute in Milan, with the mission to perform cutting edge research on gene and cell therapy and to translate its results into therapeutic advances for genetic diseases. The Institute comprises 13 Experimental Research Units and 2 Clinical Research Units with specific expertise for conducting clinical trials of Advanced Therapy Medicinal Products, with a staff of about 220 people coming from more than 10 different countries.

Research at SR-Tiget spans from basic to pre-clinical and early phase clinical studies and the Institute's portfolio of gene and cell therapies now embraces the full spectrum of drug development up to the market. The integration of basic and clinical research is probably the most notable feature of the Institute and in order to foster the translational path SR-Tiget has also established a number of development cores, including a Process Development Lab, a GLP (Good Laboratory Practices) Test Facility, a Vector Integration Core, a Bioinformatic Core, a GCLP (Good Clinical Laboratory Practices) Laboratory and a dedicated Clinical Trial Office.

In line with its mission, SR-Tiget is engaged in strategic alliances with pharma companies which are crucial to effectively develop the results of academic research into therapies available to patients. A milestone in this respect has been the marketing authorization granted in May 2016 by the European Commission to GSK for Strimvelis™, the first ex vivo gene therapy approved for the treatment of ADA-SCID, a rare immunodeficiency. To date more than 100 patients from all over the world have been treated with gene therapy protocols developed at SR-Tiget.

Istituto San Raffaele-Telethon per la Terapia Genica (SR-TIGET)

L'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (SR-Tiget) stato fondato nel 1995 a Milano come joint-venture fra la Fondazione Telethon e l'Istituto Scientifico San Raffaele con la missione di svolgere attività di ricerca all'avanguardia nel settore della terapia genica e cellulare e di tradurre i risultati ottenuti in avanzamenti terapeutici per le malattie genetiche. L'Istituto comprende 13 Unità di Ricerca Sperimentale e 2 Unità di Ricerca Clinica con competenze specifiche per lo svolgimento di sperimentazioni cliniche di terapie avanzate (ATMP - Advanced Therapy Medicinal Products), con uno staff di circa 220 persone provenienti da più di 10 paesi diversi.

Le attività di ricerca di SR-Tiget spaziano da ricerca di base a studi pre-clinici e studi clinici, e il portafoglio di terapie geniche e cellulari dell'Istituto abbraccia ora l'intero spettro delle fasi di sviluppo fino al mercato. L'integrazione tra ricerca clinica e ricerca di base è probabilmente la caratteristica più rilevante dell'Istituto e al fine di favorire questo percorso traslazionale, SR-Tiget si è dotato di una serie di Unità di Sviluppo, come il Process Development Lab, il Centro di Saggio GLP (Good Laboratory Practices), a l'Unità di Studio delle Integrazioni Vettoriali, l'Unità di Bioinformatica, a il Laboratorio GCLP (Good Clinical Laboratory Practices) e un Clinical Trial Office dedicato.

In linea con la sua missione, SR-Tiget è impegnato in alleanze strategiche con industrie farmaceutiche, cruciali per sviluppare i risultati della ricerca accademica affinché diventino terapie disponibili per i pazienti. Una tappa fondamentale da questo punto di vista è stata l'autorizzazione

all'immissione in commercio data nel maggio 2016 dalla Commissione Europea a GSK per Strimvelis™, la prima terapia genica ex vivo approvata per il trattamento di ADA-SCID, una rara immunodeficienza. Ad oggi più di 100 pazienti provenienti da tutto il mondo sono stati trattati con protocolli di terapia genica sviluppati presso SR-Tiget.

Malattie Genetiche

Telethon Project (nr):

Fondazione Telethon

Disease Name:

Genetic Diseases

Keywords: