



*Fondazione per la Ricerca  
sulla Fibrosi Cistica - Onlus  
italian cystic fibrosis research foundation*

# XIX CONVENTION OF INVESTIGATORS IN CYSTIC FIBROSIS

25 – 26 novembre 2021

**Anna Cereseto**

Università di Trento

Dipartimento CIBIO

**Utilizzo della tecnologia CRISPR-Cas9 per riparare  
le mutazioni F508del e 2789+5G>A  
CODICE PROGETTO: FFC#2/2021**

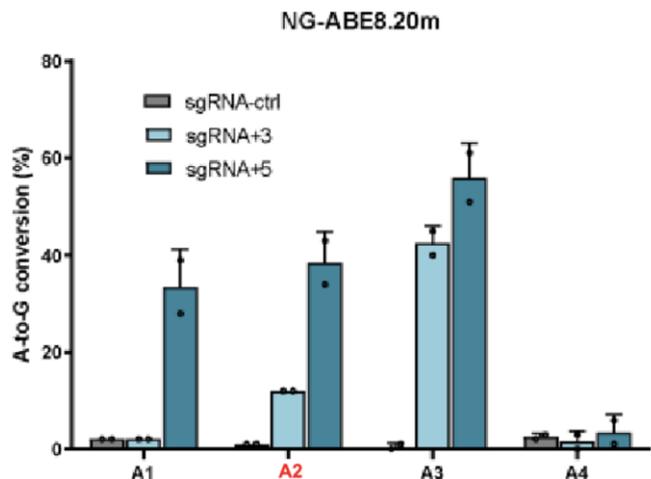
# OBIETTIVI SCHEMATICI DEL PROGETTO:

- **Messa a punto di strategie di «editing genomico» per il riparo delle mutazioni F508del e 2789+5G>A:**

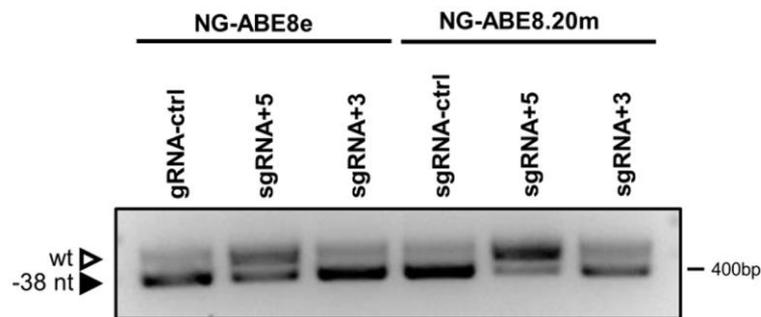
- 1. Per la mutazione F508del verranno individuate e introdotte modifiche nucleotidiche in grado di neutralizzare la delezione F508**
- 2. Per la mutazione 2789+5G>A verranno utilizzate nuove tecnologie CRISPR-Cas denominate base-editing**

# DATI PRELIMINARI:

## efficacia della tecnologia base editing per la correzione della mutazione 2789+5G>A



Correzione genetica della della mutazione A>G (mut A2)



Correzione funzionale del trascritto dopo editing genomico

# CONTRIBUTO DEL PROGETTO ALL'AVANZAMENTO PER LA CURA DELLA FIBROSI CISTICA

- Individuazione di nuove strategie di editing genomico per la cura tramite terapia genetica della fibrosi cistica
- Verranno messe a punto strategie innovative per correggere geneticamente e funzionalmente le mutazioni F508del e 2789+5G>A