

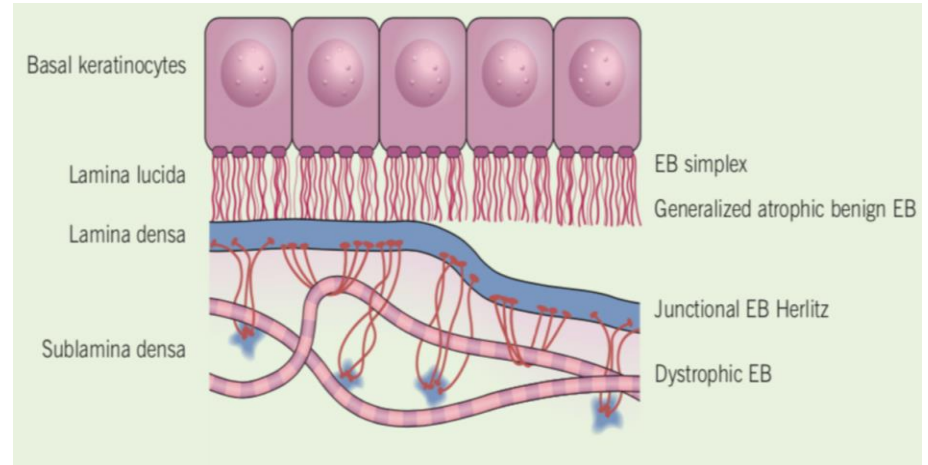
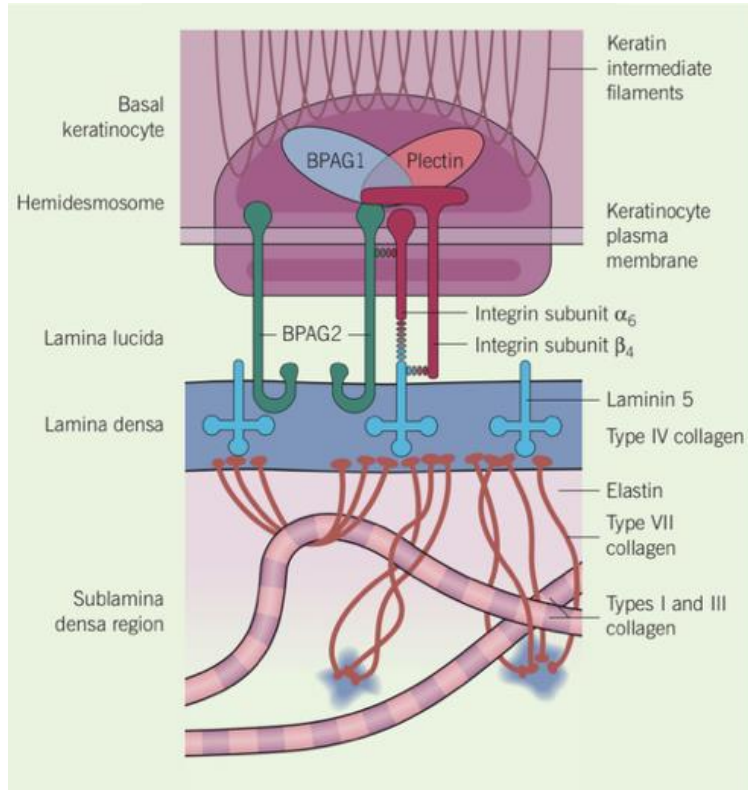


LE ALI DI
CAMILLA
'S WINGS





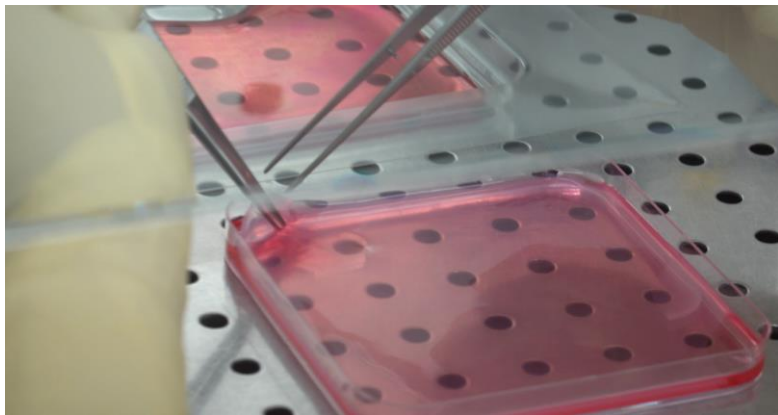
Epidermolysis Bullosa



Gene Therapy



Combined Cell & Gene Therapy



**nature
medicine**

Correction of junctional epidermolysis bullosa by transplantation of genetically modified epidermal stem cells

Fulvio Mavilio¹, Graziella Pellegrini^{1,2}, Stefano Ferrari², Francesca Di Nunzio¹, Enzo Di Iorio²,
Alessandra Recchia¹, Giulietta Maruggi¹, Giuliana Ferrari³, Elena Provasi¹, Chiara Bonini⁴, Sergio Capurro⁵,
Andrea Conti⁶, Cristina Magnoni⁶, Alberto Giannetti⁶ & Michele De Luca^{1,2}

2014

Stem Cell Reports
Report

ISSCR 

OPEN ACCESS

Long-Term Stability and Safety of Transgenic Cultured Epidermal Stem Cells in Gene Therapy of Junctional Epidermolysis Bullosa

Laura De Rosa,^{1,5} Sonia Carulli,^{1,5} Fabienne Cocchiarella,¹ Daniela Quaglino,² Elena Enzo,¹
Eleonora Franchini,¹ Alberto Giannetti,³ Giorgio De Santis,⁴ Alessandra Recchia,¹ Graziella Pellegrini,¹
and Michele De Luca^{1,4}

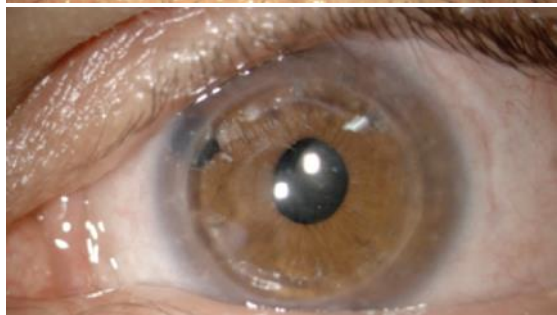
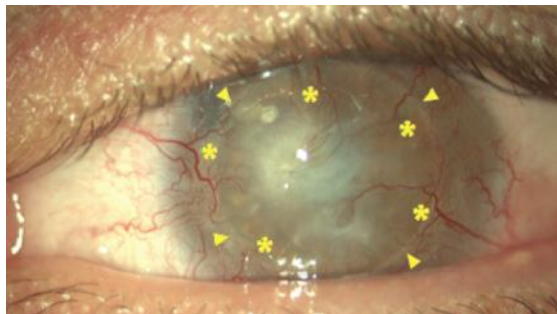
J Invest Dermatol. 2017 Mar;137(3):778-781. doi: 10.1016/j.jid.2016.10.038. Epub 2016 Nov 10.

Closure of a Large Chronic Wound through Transplantation of Gene-Corrected Epidermal Stem Cells.

Bauer JW¹, Koller J², Muraier EM³, De Rosa L⁴, Enzo E⁴, Carulli S⁵, Bondanza S⁵, Recchia A⁴, Muss W⁶, Diem A⁷, Mayr E³, Schlager P³, Gratz IK⁸, Pellegrini G⁴, De Luca M⁴.



Cell Therapy for Corneal Surface



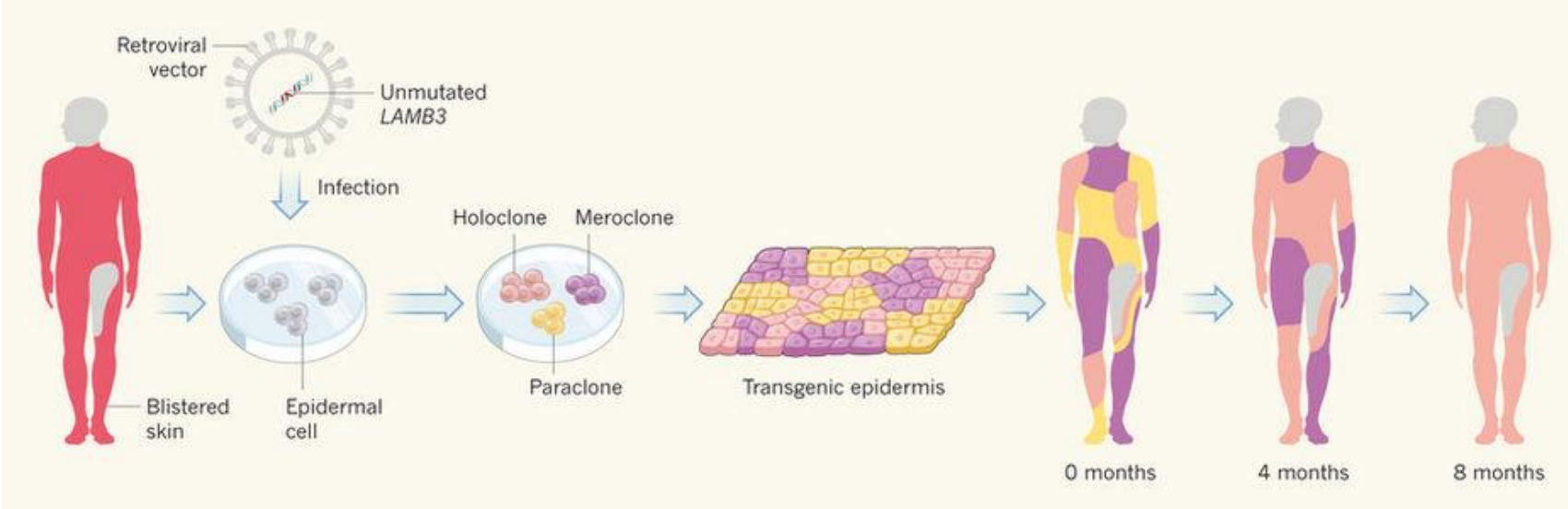
Pellegrini et al., *The Lancet*, 1997
Rama et al., *Transplantation*, 2001
Pellegrini et al., *N.Engl.J.Med.*, 2004
Rama et al., *N.Engl.J.Med.*, 2010
Pellegrini et al., *Regen.Med.* 2013
Pellegrini et al., *Stem Cells* 2014,
Pellegrini et al., *Regen. Med.* 2016;
Deng et. Al., *Cornea* 2019

APPROVED

Combined Cell & Gene Therapy



Combined Cell & Gene Therapy



'You See a Miracle': Interview with Scientists on Gene Therapy That Saved Boy Dying of EB

NOVEMBER 21, 2017 BY MAGDALENA KEGEL



ESP | AME | BRA | CAT | ENG

NEWSLETTER SUBSCRIBE

EL PAÍS

LA CIENCIA DE LA SEMANA

f t +

Dos alas para el niño mariposa

La corrección genética y el cultivo de células madre salvan a un niño desahuciado por una enfermedad mortal de la piel. Ha llegado el futuro

STAT Sections Topics Multimedia Popular STAT Plus

Job Board About Us Newsletters Log In / Subscribe

IN THE LAB

'Extraordinary' tale: Stem cells heal a young boy's lethal skin disease

By MAX BLAU @maxblau / NOVEMBER 9, 2017

BBC Sign in

NEWS

CORRIERE DELLA SERA

la Repubblica

LA STAMPA

Le Scienze

WIRED



THE TIMES

THE WALL STREET JOURNAL.

SCIENTIFIC AMERICAN.

The New York Times

The Telegraph

The Atlantic

TIME

JAMAICA OBSERVER

theguardian

ScienceNews
MAGAZINE OF THE SOCIETY FOR SCIENCE & THE PUBLIC

Frankfurter Allgemeine
Wissen

SANTA FE NEW MEXICAN

Science

Los Angeles Times

FOLHA DE S.PAULO

★ ★ ★ UM JORNAL A SERVIÇO DO BRASIL

LE ALI DI CAMILLA 'S WINGS

5 years later...

la Repubblica Sabato, 30 dicembre 2023 **Cronaca**

MODENA, MOBILITAZIONE PER NON FAR CHIUDERE LA HOLOSTEM

Malattie rare, gli scienziati rottamati "Nessuno salverà più i bimbi farfalla"

di Elena Diaci

I bambini farfalla rischiano di non avere più cura. I bambini in Italia di non essere dall'arrivare ai paesi con la cura necessaria sono troppo, e in cura troppo costosa. Con le aziende farmaceutiche che per un farmaco sottile hanno sborsato la somma, i bambini in Italia possono continuare a sottostare ai trattamenti fuori come Tachina e a Bologna, i bambini farfalla perdono le cure che la cura si prepara per loro una cura.

Molte sono le iniziative. L'azienda di Modena sarà nel 2026 alla ricerca di terapie innovative in medicina di precisione di essere conosciuta la cura nei 100 milioni. La cura necessaria a chi ha deciso di curarsi in Italia parteciperanno il progetto dell'università di Modena e della Regione emiliana.

La malattia dei bambini farfalla - epidermolisi bollosa - non avrà più la cura che l'azienda sta sperimentando. Il per fortuna nei pazienti è il più delle forme più estreme costi necessari a essere prima dell'epidermolisi, come accaduta prima che l'azienda mettesse a punto la terapia a base di cellule staminali trattate per correggere il difetto del Dna.

La diffusione
1.500

Intervista ai genitori
L'epidermolisi bollosa può assumere diverse forme, alcune lievi e altre fatali.

La sede L'azienda di Modena Farmaci costosi a poco remunerativi a rischio l'azienda che studia terapie avanzate

La ricerca di Modena Gian Carlo Manzoni ha scritto al Ministro della Salute Onofrio Schillaci. Lo stesso modo che rende queste malattie poco appetibili per un privato - la loro cura - rende non insostituibile un laboratorio pubblico.

Un'altra decina di malattie rare hanno in sperimentazione cura con le aziende e terapie geniche. I bambini farfalla ad esempio - cogli di Ada Sidi, un difetto del sistema immunitario che si continua a vivere al riparo dai micrabi in un'azienda di ricerca - hanno cura ora messa a punto dall'azienda Telethon del San

La cura La terapia di chimica è stata sostenuta dall'azienda Gilead, che aveva il suo sostegno per essere con Orchard. Ora che l'azienda gli ha deciso di togliere il proprio - 224 pazienti guariti - Ada Sidi e altre che mai re dal sistema immunitario di controllo. Il ruolo di un'azienda di ricerca - hanno scritto su Nature nel 1° gennaio dell'azienda - il San Raffaele di Milano scrive Ada, Francesca Pia Luigi Nistri.

La cura La terapia di chimica è stata sostenuta dall'azienda Gilead, che aveva il suo sostegno per essere con Orchard. Ora che l'azienda gli ha deciso di togliere il proprio - 224 pazienti guariti - Ada Sidi e altre che mai re dal sistema immunitario di controllo. Il ruolo di un'azienda di ricerca - hanno scritto su Nature nel 1° gennaio dell'azienda - il San Raffaele di Milano scrive Ada, Francesca Pia Luigi Nistri.

La cura La terapia di chimica è stata sostenuta dall'azienda Gilead, che aveva il suo sostegno per essere con Orchard. Ora che l'azienda gli ha deciso di togliere il proprio - 224 pazienti guariti - Ada Sidi e altre che mai re dal sistema immunitario di controllo. Il ruolo di un'azienda di ricerca - hanno scritto su Nature nel 1° gennaio dell'azienda - il San Raffaele di Milano scrive Ada, Francesca Pia Luigi Nistri.



la Repubblica
GAZZETTA DI MODENA
il Resto del Carlino
RadioSa
great music for great people

mediagriuli
telefriuli LIVE

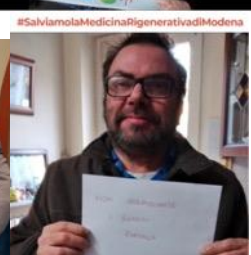
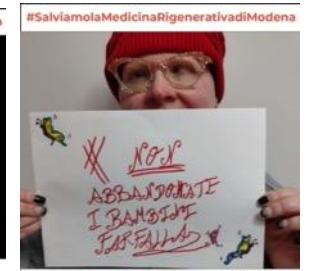
Home / News / Da Gorizia la battaglia di Rebecca, non togliete la speranza ai bimbi farfalla

Da Gorizia la battaglia di Rebecca, non togliete la speranza ai bimbi farfalla

La famiglia è aggrappata agli studi di un'azienda di Modena, ora in liquidazione



Our Awareness Campaign



#saveregenerativemedicine

#SalviamolaMedicinaRigenerativadiModena



#SalviamolaMedicinaRigenerativadiModena



#SalviamolaMedicinaRigenerativadiModena



#SalviamolaMedicinaRigenerativadiModena



#SalviamolaMedicinaRigenerativadiModena



#SalviamolaMedicinaRigenerativadiModena



Is ours an isolated case?



Science & Society



EMBO
reports

Cost and availability of novel cell and gene therapies

Can we avoid a catastrophic second valley of death?

Michele De Luca^{1,*}  & Giulio Cossu^{2,3,**} 

ADA-SCID

Adrenoleukodystrophy



Wiskott Aldrich Syndrome

β thalassemias

and...?

Thank you!

#SalviamolaMedicinaRigenerativadiModena



stefania.bettinelli@lealidicamilla.org

