

LABORATORIO DI : Laboratorio di Terapia Genica di Malattie Genetiche Ereditarie ed Acquisite

Denominazione : LABORATORIO DI TERAPIA GENICA, Unità di Ricerca P. CUTINO – UOC di Malattie Rare del Sangue e degli Organi Ematopoietici - Ospedali Riuniti VILLA SOFIA-CERVELLO

Responsabile: Dr. SANTA ANNA ACUTO

Metodologie e Tecniche:

Metodologie di biologia molecolare e cellulare e di ingegneria genetica applicate a clonaggio di vettori plasmidici, preparazione e titolazione di vettori lentivirali, manipolazione genetica di cellule umane e murine mediante trasduzione con vettori lentivirali, analisi di espressione dei transgeni, espansione ex-vivo di cellule staminali e caratterizzazione di potenzialità e di capacità di differenziamento in vitro. Estrazione di acidi nucleici e di proteine nucleari, saggi EMSA, analisi PCR e Q-PCR "real-time", Chromatin precipitation (ChIP) e Chromatin Conformation Capture (3C), selezione immunomagnetica di cellule staminali ematopoietiche, criopreservazione ed espansione di cellule primarie e linee cellulari, analisi citofluorimetrica.

Linee di ricerca:

L'attività del laboratorio di terapia genica si occupa di trasferimento genico di vettori lentivirali ricombinanti in cellule staminali, in cellule primarie ed in linee cellulari ai fini di terapia genica e di ricerca per lo studio dei meccanismi che regolano la trasgenesi e la regolazione del genoma della cellula eucariotica.

5 Lavori scientifici più rappresentativi dell'attività svolta ultimi anni:

- 1. Rigano P, Pecoraro A, Calzolari R, Troia A, **Acuto S**, Renda D, Pantalone GR, Maggio A, Di Marzo R. Desensitization to hydroxycarbamide following long-term treatment of thalassaemia intermedia as observed in vivo and in primary erythroid cultures from treated patients. <u>Br J Haematol</u>, 2010 Dec;151(5):509-15. **IF= 4,942**
- 2. D'Apolito D, Baiamonte E, Bagliesi M, Di Marzo R, Calzolari R, Ferro L, Spinelli G, Maggio A, Acuto S. The Sea Urchin sns5 Insulator Protects Retroviral Vectors From Chromosomal Position Effects by Maintaining Active Chromatin Structure. Mol Ther, 17(8): 1434-1441 (2009). IF=7,149
- **3.** Calzolari R., Pecoraro A., Borruso V., Troia A., **Acuto S**., Maggio A. and Di Marzo R.: Induction of gamma-globin gene transcription by hydroxy carbamide in primary erythroid cell cultures

from Lepore patients. Br J Haematol 141:720-727(2008) IF= 4,942

- 4. Samakoglu S., Lisowski L., Budak-Alpdogan T., Acuto S., Di Marzo R., Maggio A., Zhu P., Tisdale J., Rivierè I and Sadelain M. "A genetic strategy to treat sicke cell anemia by coregulating globin transgene expression and RNA interference" Nature Biotechnology 24 (1) 89-94 (2006) IF= 31,085
- **5. Acuto** S., Di Marzo R., Calzolari R., Baiamonte E., Maggio A., Spinelli G. "Functional characterization of the sea urchin *sns* Chromatin insulator in erythroid cells" Blood, Cells, Molecules and diseases 35(3): 339-344 (2005) **IF=2,716**

Ubicazione laboratorio: Unità di Ricerca P. Cutino, UOC Malattie Rare del Sangue e degli Organi Ematopoietici – Osp. Riu. Villa Sofia-Cervello, P.O. V.Cervello Via Trabucco 180

Posti disponibili: 1/ANNO

Ricevimenti studenti: Per appuntamento, tramite e-mail o telefono

Tel.: 091 6802433 / 2744

Fax: 091 6880828

e-mail: santina.acuto@ospedaliriunitipalermo.it

Foto laboratorio















Foto responsabile: Santina Acuto

