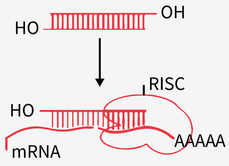
VADEMEDICUM®

LE NUOVE TECNOLOGIE BASATE SULL'RNA: MOLECOLE, VETTORI E BERSAGLI

MOLECOLE TERAPEUTICHE A RNA

siRNA: ~13 kDa



Degradazione dell'RNA mediata da RISC

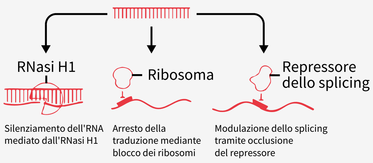
SILENZIAMENTO GENICO MEDIATO DA SMALL INTERFERING RNAS

Causano la distruzione degli RNA bersaglio, inibendone la traduzione in proteine.

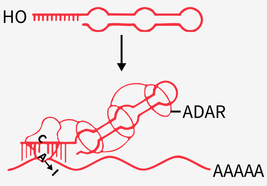
SILENZIAMENTO GENICO O SPLICING ALTERNATIVI MEDIATO DA ANTI-SENSE OLIGONUCLEOTIDES

Bloccano la sintesi proteica o aumentano la sintesi della proteina bersaglio tramite lo splicing alternativo dell' RNA

ASO: ~6 kDa



Oligonucleotidi ADAR: ~24 kDa



A ⟶| Editing dell'mRNA mediato da ADAR

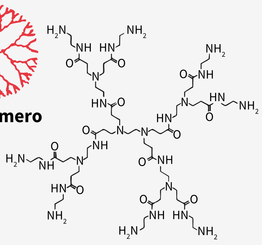
EDITING DELL'RNA MEDIATO DA ADAR

Gli ADAR (adenosine deaminase acting on RNA ASOs) sono in grado di sostituire nucleotidi nella catena dell' RNA per sintetizzare proteine più funzionali

SISTEMI PER VEICOLARE GLI RNA AI TESSUTI BERSAGLIO

Dendrimero PAMAM

Dendrimero



DENDRIMERI

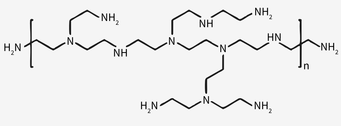
I dendrimeri vengono sintetizzati con gruppi cationici, come la Poly-(Amido Amine) (PAMAM). I dendrimeri sono stati usati per veicolare RNA al sistema nervoso e come vettore per vaccini intramuscolari contro l'Ebola e il virus H1N1.

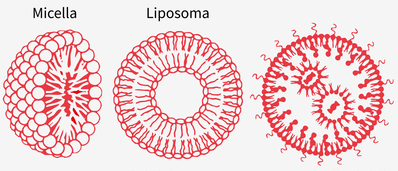
POLIMERI E NANOPARTICELLE POLIMERICHE

Possono essere sintetizzati variandone la carica, peso molecolare e degradabilità, in modo da variarne la farmacocinetica. A livello sperimentale sono stati utilizzati per veicolare farmaci a RNA al tessuto polmonare e nervoso.

Nanoparticella polimerica

Dendrimero PAMAM





Strutture lipidiche **Nanoparticella lipidica**

STRUTTURE E NANOPARTICELLE LIPIDICHE

Queste piccole strutture lipidiche possono veicolare gli RNA al tessuto bersaglio, in particolare al fegato, riducendo significativamente la dose minima efficace.

Rielaborazione grafica da: Paunovska, K., Loughrey, D. & Dahlman, J. E. Drug delivery systems for RNA therapeutics. *Nat Rev Genet* **23**, 265–280 (2022).