HORIZON-HLTH-2025-01-TOOL-01: Migliorare le terapie cellulari con tecniche genomiche

PROGRAMMA DI FINANZIAMENTO	Horizon Europe (HORIZON)
TITOLO BANDO (ITA/ENG)	HORIZON-HLTH-2025-01-TOOL-01: Migliorare le terapie cellulari con tecniche genomiche HORIZON-HLTH-2025-01-TOOL-01: Enhancing cell therapies with genomic techniques
DATA DI SCADENZA	16/09/2025
ENTE FINANZIATORE	Commissione Europea (European Health and Digital Executive Agency – HaDEA)
BUDGET (€)	€ 50 000 000
TEMATICHE	terapie cellulari, tecniche genomiche, medicina rigenerativa, biotecnologia
DESCRIZIONE	Le terapie basate su cellule, cellule staminali o cellule somatiche hanno dimostrato di essere altamente efficaci come terapia per una varietà di condizioni di salute. Tuttavia, permangono colli di bottiglia che attualmente ne ostacolano l'applicazione sicura ed efficiente su larga scala. L'editing del genoma e dell'epigenoma hanno un grande potenziale per superare alcuni di questi colli di bottiglia e per portare alla prossima generazione di terapie basate sulle cellule. Far progredire la frontiera della terapia cellulare con questi strumenti e l'ulteriore traduzione di tale ricerca in soluzioni clinicamente valide potrebbero aprire una nuova era di terapie innovative. Questo bando mira alla progettazione di cellule ingegnerizzate per affrontare gli attuali limiti delle terapie cellulari, come l'efficienza di somministrazione, la sicurezza del paziente, la persistenza in vivo, l'effetto terapeutico desiderato, la tolleranza immunitaria e i flussi di lavoro di produzione. L'approccio scelto dovrebbe consentire di controllare le caratteristiche, il destino e la funzione delle cellule ingegnerizzate a partire dal livello genico e quindi portare a cellule personalizzate con caratteristiche terapeutiche migliorate. L'uso dell'ingegneria genetica e in particolare degli strumenti di editing genetico dovrebbe essere un elemento chiave nella progettazione delle cellule ingegnerizzate. L'azione terapeutica dovrebbe basarsi sulle capacità endogene delle cellule; il caricamento esogeno delle cellule con farmaci (utilizzando le cellule come trasportatori di farmaci) non è nell'ambito. Le cellule ingegnerizzate dovrebbero essere derivate da cellule umane. Possono essere utilizzate sia cellule staminali che cellule somatiche, ma di origine allogenica, aprendo così la strada allo sviluppo di terapie cellulari

	"off-the-shelf". I candidati devono indicare esplicitamente nella loro proposta quale delle seguenti aree terapeutiche è mirata e il lavoro proposto deve riguardare solo questa specifica area terapeutica: cancro e oncologia; sistema nervoso e sensoriale; sistema cardiovascolare e circolatorio; endocrinologia e sistema metabolico; sistema muscoloscheletrico; sistema digerente; malattie infettive; sistema respiratorio; dermatologia; sistema immunitario e malattie autoimmuni.
RISULTATI ATTESI	Questo tema mira a sostenere le attività che consentono o contribuiscono a uno o più impatti attesi della destinazione "Sviluppare e utilizzare nuovi strumenti, tecnologie e soluzioni digitali per una società sana". A tal fine, le proposte nell'ambito di questo tema devono mirare a fornire risultati diretti e che contribuiscano a diversi dei seguenti risultati attesi: • Gli scienziati biomedici dispongono di strumenti che consentono loro di progettare cellule con caratteristiche terapeutiche specifiche. • Metodi e saggi migliorati sono disponibili per gli sviluppatori di biofarmaci. • I medici avranno accesso ad approcci terapeutici innovativi che consentiranno loro di trattare patologie per le quali attualmente non esistono strategie terapeutiche o sono insufficienti. • L'ingegneria cellulare sarà arricchita e aprirà la strada a nuove opzioni terapeutiche personalizzate.
ATTIVITÀ	Le attività dovrebbero comprendere tutti i seguenti elementi: • Progettazione di circuiti genetici sintetici che agiscono come interruttori per modulare la/le funzione/i desiderata/e e la loro integrazione nelle cellule scelte, con l'ausilio di nuove tecniche genomiche. Oltre a nuove tecniche genomiche come l'editing del genoma e l'epigenoma, anche la biologia sintetica che introduce transgeni o geni artificiali può essere utilizzata per conferire alle cellule ingegnerizzate proprietà terapeutiche migliorate e ottenere il fenotipo cellulare desiderato. I candidati devono utilizzare sistemi di controllo genico, inclusi il controllo trascrizionale, traduzionale e/o post-traduzionale, o altri approcci che installino interruttori on-off e sistemi di controllo, come ad esempio un meccanismo "sense-and-respond"; nelle cellule ingegnerizzate, a volte anche denominate "cellule teranostiche". • Per la costruzione efficiente e l'accelerazione dei cicli di progettazione-costruzione-test delle cellule ingegnerizzate contenenti le funzionalità programmate, è necessario utilizzare strumenti all'avanguardia, inclusi quelli digitali (ad esempio, progettazione assistita da computer - CAD - e strumenti simili). • Sistemi in vitro ed ex vivo idonei devono essere utilizzati per testare e dimostrare la funzione e le prestazioni delle cellule ingegnerizzate. Il loro valore aggiunto, la loro sicurezza ed efficacia devono essere garantiti in modelli

	preclinici appropriati per una specifica area terapeutica. Qualsiasi malattia, disfunzione o compromissione della salute può essere selezionata come area terapeutica. • I candidati devono dimostrare che le cellule ingegnerizzate sono sicure ed esercitano l'effetto terapeutico desiderato in vivo. Il coinvolgimento e l'interazione con le autorità di regolamentazione durante il progetto sono essenziali per la qualificazione della terapia cellulare sviluppata e in vista della conduzione di studi clinici. La dimostrazione della fattibilità della terapia cellulare proposta nei primi studi sull'uomo sarebbe un vantaggio.
CHI PUÒ PRESENTARE IL PROGETTO	Qualsiasi entità giuridica (università, enti di ricerca, PMI, startup, ospedali, autorità sanitarie) con sede in Stati Membri UE o Paesi associati a Horizon Europe.
MODALITÀ DI PARTECIPAZIONE	Attraverso il portale Funding and Tenders
LINK ALLA CALL	https://ec.europa.eu/info/funding-tenders/opportunities/portal/screen/opportunities/topic-details/HORIZON-HLTH-2025-01-TOOL-01