

**Giuliana Ferrari**  
***Curriculum Vitae, 17 maggio 2022***

## **PERCORSO SCIENTIFICO E PROFESSIONALE**

|                |                                                                                                                          |
|----------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 1985           | Laurea in Scienze Biologiche- Università degli studi di Milano                                                           |
| 1985-1987      | Post-doctoral fellow, Wistar Institute of Anatomy and Biology, Philadelphia, PA, USA                                     |
| 1987-1989      | Assistente Ricercatore, Divisione di Oncologia Sperimentale D, Istituto Nazionale Tumori, Milano                         |
| 1989-1992      | Assistente ricercatore presso il laboratorio di Ematologia Molecolare, Istituto Scientifico H. S. Raffaele di Milano     |
| 1992-1996      | Assistente ricercatore presso il laboratorio di Espressione Genica, DIBIT, Istituto Scientifico H. S. Raffaele di Milano |
| 1996- 2001     | Group Leader, S. Raffaele-Telethon Institute for Gene Therapy (SR-TIGET), IRCCS S. Raffaele di Milano                    |
| 2001- presente | Capo Unità, Trasferimento genico in cellule staminali, SR-TIGET, IRCCS S. Raffaele di Milano                             |
| 2008-2015      | Coordinatore della Ricerca, SR-TIGET, IRCCS S. Raffaele, Milano                                                          |
| 2012- presente | Study Director, Centro di Saggio GLP SR-TIGET                                                                            |

## **ATTIVITA' DIDATTICA ED ACCADEMICA**

|                |                                                                                                                                                                        |
|----------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 2006- 2017     | Professore Associato di Biologia Molecolare, Università Vita-Salute S. Raffaele, Facoltà di Medicina e Chirurgia                                                       |
| 2006- 2021     | Membro della Commissione Didattica dei Corsi di Laurea in Biotecnologie Mediche e Farmaceutiche e di Laurea Magistrale in Biotecnologie Mediche Molecolari e Cellulari |
| 2006 - 2021    | Tutore per la didattica e l'orientamento, Il anno, del Corso di Laurea Magistrale in Biotecnologie Mediche Molecolari e Cellulari                                      |
| 2007-2014      | Membro del Collegio dei Docenti del "Dottorato di Ricerca Internazionale in Medicina Traslazionale e Molecolare (DIMET)", Università degli Studi di Milano-Bicocca     |
| 2007- presente | Membro del Collegio dei Docenti del "Dottorato di Ricerca Internazionale di Biologia Cellulare e Molecolare ", Università Vita-Salute San Raffaele                     |
| 2008 - 2009    | Membro designato dal Consiglio Universitario Nazionale della Commissione giudicatrice per la conferma in ruolo dei Ricercatori Universitari S.S.D. BIO/11              |

|                |                                                                                                                                                                                                      |
|----------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 2011-presente  | Responsabile del Corso Biologia Molecolare (CFU 6) del corso integrato Biologia Molecolare e Genetica, Corso di Laurea in Biotecnologie Mediche e Farmaceutiche, Università Vita-Salute San Raffaele |
| 2011-presente  | Responsabile del Corso Integrato di Espressione Genica e Proteomica (CFU 10), Corso di Laurea Magistrale in Biotecnologie Mediche, Molecolari e Cellulari, Università Vita-Salute San Raffaele       |
| 2011- presente | Membro del Consiglio della Scuola di Specializzazione in Ematologia e della Scuola di Specializzazione in Microbiologia e Virologia, Università Vita-Salute S.Raffaele                               |
| 2014 - 2015    | Co-PI e PI del Comitato del Programma Internazionale di Post-dottorato, Università Vita-Salute S.Raffaele.                                                                                           |
| 2017- presente | Professore Ordinario di Biologia Molecolare, Università Vita-Salute S. Raffaele, Facoltà di Medicina e Chirurgia                                                                                     |
| 2017-2021      | Membro della Commissione Paritetica del Corso di laurea in Biotechnology and Medical Biology, Università Vita-Salute S.Raffaele.                                                                     |
| 2020-presente  | Presidente Commissione Trasferimenti Corsi di Laurea Ricerca Biotecnologica in Medicina e Biotechnology and Medical Biology, Università Vita-Salute S. Raffaele                                      |
| 2020-2021      | Tutore per la didattica e l'orientamento, III anno, del Corso di Laurea triennale Ricerca in Biotecnologie Mediche                                                                                   |
| 2021–2024      | Presidente Nucleo di Valutazione di Ateneo, Università Vita-Salute S. Raffaele                                                                                                                       |

Attività di: relatore di tesi di Laurea per il corso di Biotecnologie Mediche e Farmaceutiche e di Laurea Magistrale per il corso di Biotecnologie Mediche, Molecolari e Cellulari; direttore degli studi di dottorandi del Dottorato di Ricerca Internazionale di Biologia Cellulare e Molecolare, Università Vita-Salute S.Raffaele, e del Dottorato di Ricerca Internazionale in Medicina Traslazionale e Molecolare (DIMET), Università degli Studi di Milano-Bicocca; Presidente di Commissioni Esame Finale dei Programmi di Dottorato della Scuola internazionale di Dottorato di Ricerca in Medicina Molecolare, Università Vita-Salute S.Raffaele.

### **ATTIVITA' SCIENTIFICA**

*Giuliana Ferrari ha pubblicato più di 70 articoli su riviste scientifiche internazionali (Impact Factor totale 1249,753). Nel complesso, i suoi lavori sono stati citati 10.033 volte (Scopus h-index: 42). Nel corso degli anni è stata titolare di numerosi grants, ottenuti su base competitiva sia nazionale che internazionale.*

I suoi interessi di ricerca sono nell'ambito della terapia genica delle malattie genetiche (in particolare quelle del sistema emopoietico), l'ingegneria di vettori virali per il trasferimento genico, la biologia delle cellule staminali e lo sviluppo di modelli preclinici per la terapia genica.

Ha inoltre scoperto il fenomeno della plasticità delle cellule staminali ematopoietiche adulte, capaci di rigenerare danni ai tessuti muscolari. Questa ricerca ha dato origine ad un nuovo ed unico concetto nella biologia delle cellule staminali e nella medicina rigenerativa, e la pubblicazione relativa (*Science*, 1998) è uno dei più citati articoli in questo campo (2412 citazioni).

Giuliana Ferrari ha iniziato la sua carriera lavorando con Fulvio Mavilio e Claudio Bordignon sviluppando vettori retrovirali per il trasferimento genico in cellule umane e modelli preclinici per terapia genica. La prima malattia studiata fu l'immunodeficienza da carenza di adenosina deaminasi (ADA-SCID). Nel 1991 furono i primi a sviluppare un modello murino che provasse la sopravvivenza selettiva dei linfociti umani geneticamente modificati per curare l'ADA-SCID (Ferrari *et al.*, *Science*, 251:1363, 1991). Questi dati furono fondamentali per convincere l'NIH Recombinant Advisory Committee (RAC) e il FDA ad approvare la prima applicazione clinica della terapia genica su pazienti ADA-SCID, che partì all'NIH alla fine del 1990. Subito dopo, un protocollo simile fu iniziato in Italia all'Ospedale San Raffaele di Milano, con il miglioramento sostanziale dell'utilizzo di cellule staminali derivanti dal midollo osseo e di linfociti del sangue periferico (vedi *Nature*, 356:465, 1992). I risultati di questi studi pionieristici furono pubblicati nel 1995 (Bordignon *et al.*, *Science*, 270:470, 1995) e il successo della ricostituzione immunologica fu pubblicato nel 2002 (Aiuti *et al.*, *Nature Medicine*, 8:423, 2002). A lungo termine, il follow-up su pazienti ADA-SCID trattati ha dimostrato la sicurezza e l'efficacia della terapia genica utilizzando il vettore retrovirale originariamente sviluppato. La terapia genica per ADA-SCID è stata recentemente riconosciuta ed autorizzata dalla Commissione Europea per la commercializzazione con indicazione per la cura della ADA SCID (nome commerciale Strimvelis, GSK).

Nello stesso periodo, Giuliana Ferrari lavorò per lo sviluppo di vettori per un marker di superficie per la selezione delle cellule trasdotte. Questo marker, una forma troncata del recettore del NGF (Mavilio *et al.*, *Blood*, 83:1988, 1994) fu utilizzato con successo in un secondo studio pionieristico di trasferimento genico, per la prevenzione della GVHD nel trapianto di midollo osseo allogenico, mediante l'immunomodulazione della funzione dei linfociti T con un transgene TK (Bonini *et al.*, *Science* 276:1719, 1997; Bonini *et al.*, *Nature Medicine* 9:367, 2003). Nel frattempo, in collaborazione con Michele De Luca, eminente esperto delle cellule staminali epidermiche, contribuì anche allo sviluppo dei vettori e dei dati preclinici (Mathor *et al.*, *PNAS* 1996; Dellambra *et al.*, *Hum. Gene Ther.* 11:2283, 2000) per il primo trial clinico di terapia genica per una malattia genetica dell'epidermide. L'efficacia del trapianto autologo delle cellule staminali geneticamente modificate per curare l'epidermolisi bullosa fu in seguito provato in uno studio clinico fondamentale, pubblicato nel 2006 (Mavilio *et al.*, *Nature Medicine* 12:1397, 2006).

Oltre alla ricerca nel campo delle scienze applicate, Giuliana Ferrari continuò ad interessarsi alla ricerca di base sulle cellule staminali. In collaborazione con Giulio Cossu, eminente esperto delle cellule staminali muscolari, pubblicò nel 1998 le prime prove della plasticità delle cellule staminali ematopoietiche adulte, in grado di rigenerare danni ai tessuti muscolari (Ferrari *et al.*, *Science* 279:1528, 1998). Questo articolo ha dato origine ad un nuovo ed unico concetto nella biologia delle cellule staminali e nella medicina rigenerativa, ed è ancora uno dei più citati articoli in questo campo (2233 citazioni).

Il contributo della ricerca di Giuliana Ferrari nel determinare il potenziale e i limiti della plasticità delle cellule staminali, ed i meccanismi molecolari di questo fenomeno, è continuato per anni (Ferrari *et al.*, Nature 411:1014, 2001; McKinney *et al.*, PNAS 99:1341, 2002; Xynos *et al.*, Stem Cells 28:965, 2010).

Sfruttando la sua esperienza nella biologia molecolare e nella tecnologia del trasferimento genico, a partire dalla fine degli anni '90 Giuliana Ferrari ha sviluppato studi di controllo trascrizionale per regolare l'espressione genica mediata da vettori retrovirali e lentivirali nella progenie differenziata delle cellule staminali ematopoietiche (Grande *et al.*, Blood 93:3276, 1999; Lotti *et al.*, J. Virol. 76:3996, 2002; Testa *et al.*, J. Biol. Chem. 279: 10523, 2004).

Tra le maggiori sfide nel campo della regolazione trascrizionale dei transgeni, c'è quella della terapia genica della talassemia, che rappresenta attualmente la principale linea di ricerca del laboratorio diretto da Giuliana Ferrari. I risultati preclinici ottenuti hanno costituito il supporto razionale e scientifico di ricerca traslazionale che ha portato alla recente approvazione ed inizio del protocollo clinico di terapia genica per la beta-talassemia all'Ospedale San Raffaele (Miccio *et al.*, PNAS 105:10547, 2008; Roselli *et al.*, EMBO Mol. Med. 2:315, 2010; Frittoli *et al.* Hum. Gene Ther. 22:507, 2011; Adreani *et al.* Haematologica 96:128, 2011; Miccio *et al.* PLOS ONE 6:e27955, 2012). Nel 2011 Giuliana Ferrari è stata inoltre coordinatrice nella creazione del primo Centro di Saggio GLP per studi preclinici di terapie avanzate in ambito accademico, che ha ricevuto la certificazione Ministeriale nel Marzo 2014. In tale ambito è direttore di studio degli studi di tossicologia e tumorigenesi, e biodistribuzione per la terapia genica della talassemia, condotti all'interno del Centro di Saggio e certificati GLP.

Attualmente è leader del progetto di terapia genica della beta talassemia al SR-TIGET, di valenza strategica nelle alleanze industriali tra OSR, Fondazione Telethon e GlaxoSmithKline prima, e Orchard Therapeutics attualmente, e coordina il protocollo clinico (TIGET-BTHAL, NCT02453477) in collaborazione con i responsabili clinici (Prof. Alessandro Aiuti, Prof. Fabio Ciceri e Dott.ssa Sarah Marktel).

I suoi progetti di ricerca di base sono focalizzati sulla caratterizzazione molecolare e funzionale delle cellule staminali ematopoietiche umane (Lidonnici *et al.*, Hematologica, 4:e120, 2016; Zonari *et al.* Stem Cell Reports 8:977, 2017), sulle interazioni tra cellule staminali ematopoietiche e microambiente in condizioni patologiche, sul controllo molecolare dell'eritropoiesi (Cantù *et al.* Blood, 2011; Nai *et al.* Blood, 119:5021, 2012; Nai, Lidonnici *et al.* Blood, 125:1170, 2015), e sull'interazione vettore-genoma in cellule geneticamente modificate (Cattoglio *et al.* Blood 110:1770, 2007; Felice *et al.* PlosONE 4:e4751, 2009; Moiani *et al.* Journal Clin. Invest., 122:1653, 2012; Romano *et al.* Sci Rep. 6:24724, 2016).

### **RELATORE SU INVITO (dal 2006)**

14<sup>th</sup> Meeting of the European Society of Gene Therapy. Atene, Grecia, Nov. 9-12, 2006.

14<sup>th</sup> Telethon Convention. Salsomaggiore Terme, Mar. 12-14, 2007.

4<sup>th</sup> Meeting British Society for Gene Therapy. Warwick, UK, Mar.19-21, 2007.

4<sup>th</sup> Meeting Stem Cell Gene Therapy. Thessaloniki, Grecia, Set. 13-17, 2007.

15<sup>th</sup> Meeting of the European Society of Gene and Cell Therapy. Rotterdam, NL, Ott. 27-30, 2007.

International Symposium Hematological Outcomes and Prospects in Thalassemia's Prevention and Care. Roma, Italia. Nov. 26, 2008.

4° Corso di Immunogenetica e Biologia del Trapianto nella Talassemia. Roma, Italia. Nov. 27, 2008.

17<sup>th</sup> Meeting of the European Society of Gene and Cell Therapy. Hannover, Germany, Nov. 21-25, 2009.

2<sup>nd</sup> Pan-European Conference on Hameoglobinopathies. Berlin, Germany, Mar. 13-14, 2010.

17<sup>th</sup> Hemoglobin Switching Conference. Oxford, UK, Sett. 2-5, 2010.

6° Congresso Nazionale S.I.T.E. - Talassemia: Passato, Presente, Futuro. Milano, Sett.30-Ott.2, 2010.

18<sup>th</sup> Annual Congress of The European Society of Gene & Cell Therapy. Milano, Ott. 22-25, 2010.

Enerca Educational Day of Sickle Cell Disease and Thalassemias. Londra, UK, Mar. 03-04, 2011.

16<sup>th</sup> Telethon Convention. Riva del Garda, Italia, Mar 7-9 2011

19<sup>th</sup> Annual Congress of The European Society of Gene and Cell Therapy. Brighton, UK, Ott. 27-31, 2011

International Symposium Progress in Management of Hemoglobin Disorders: New Perspectives For Diagnostic, Prevention and Care. Rome, Italia, Nov. 4, 2011

18<sup>th</sup> International Hemoglobin Switching Meeting. Asilomar, USA, Giu. 6-12, 2012

7° Congresso Nazionale SITE, Il Futuro delle Emoglobinopatie. Mesagne, Italia, Sett. 27-29, 2012

20<sup>th</sup> Annual Congress of the European Society of Gene & Cell Therapy. Versailles, Francia, Ott. 24-28, 2012

17<sup>th</sup> Telethon Convention. Riva Del Garda, Italia, Mar. 11-13, 2013

21<sup>st</sup> Annual Congress of The European Society of Gene & Cell Therapy. Madrid, Spagna, Ott. 24-28, 2013

5<sup>th</sup> European Symposium On Rare Anaemias – 1<sup>st</sup> Italian Thalassaemia Meeting for Patients and Health Professional. Ferrara, Italia, Nov. 15-16 2013

ECM Course – Hemoglobin Disorders: Global Challenge, New Developments and Future Perspectives. Roma, Italia, Nov. 26, 2013

Thalassaemia International Day. Nicosia, Cipro, Mag. 11, 2014

19<sup>th</sup> International Hemoglobin Switching Conference. Oxford, UK, Sett. 4-8, 2014

8° Congresso Nazionale SITE, Società Italiana Talassemie ed Emoglobinopatie. Genova, Italia, Ott. 9-11, 2014

13° Congresso Nazionale SIES, Società Italiana Ematologia Sperimentale. Rimini, Italia, Ott. 15-17, 2014

22<sup>nd</sup> Annual Congress of the European Society of Gene & Cell Therapy. L'Aia, Paesi Bassi, Ott. 22-26, 2014

DIMET Course – “Gene function in normal and pathological hematopoiesis”. Milano, Italia, Nov. 27-28, 2014

Meet the Expert: Gene Therapy in Thalassaemia. Cagliari, Italia, Gen. 29, 2015

EHA-SWG Scientific Meeting – Focus on Red Cell and Iron Disorders, and Myelodysplastic Syndrome (MDS). Lisbona, Portogallo, Mar. 6-8, 2015

18<sup>th</sup> Telethon Convention. Riva del Garda, Italia, Mar. 9-11, 2015

ATMP Course “Introduction to the Development of Advanced Therapy Medicinal Products: Scientific and Regulatory Issues”. Roma, Italia, Sett. 14-15, 2015

23<sup>rd</sup> Annual Congress of the European Society of Gene & Cell Therapy. Helsinki, Finlandia, Sett. 18-20, 2015

Congress "Red cell biology thirty years after". Milano, Italia, Sett. 24-26, 2015

2° Congresso Nazionale United – Thalassa Azione Onlus. Cagliari, Italia, Sett. 26, 2015

45° Congresso Nazionale SIE. Firenze, Italia, Ott. 4-7, 2015

10<sup>th</sup> Cooley's Anemia Symposium. Chicago, USA, Ott. 18-22, 2015

UK Haematology Forum, Richmond, UK; Nov. 09-10, 2015

19<sup>th</sup> Annual Congress of the American Society of Gene & Cell Therapy, Washington, USA; Mag. 4-7, 2016

Siriraj International Conference in Medicine and Public Health 2016, Bangkok, Thailandia; Giu. 13-15, 2016

20<sup>th</sup> Hemoglobin Switching Annual Conference, Pacific Grove, California; Sett. 14-18, 2016

1<sup>st</sup> Congress of the Ellenic Society of Gene Therapy and Regenerative Medicine, Salonicco, Grecia; Sett. 23-24, 2016

9° Congresso Nazionale SITE, Catania, Italia; Ott. 6-8, 2016

Presidential Symposium al 58° ASH Annual Meeting, San Diego, California; Dic. 3-6, 2016

Convegno Talassemie e Sickle Cell Disease, Torino, Italia, Gen. 21, 2017

Convegno Medicina del Futuro o Futuro della Medicina, Pavia, Italia, Febb. 24-25, 2017

San Raffaele Hospital Retreat, Baveno, Italia, Mar. 10-12, 2017

Unistem Day, Milano, Italia, Mar. 17, 2017

43rd Annual Meeting of the European Society for Blood and Marrow Transplantation, Marsiglia, Francia, Mar. 26-29, 2017

20<sup>th</sup> Annual Congress of the American Society of Gene & Cell Therapy, Washington, USA, Mag. 10-13, 2016

10° Congresso della Spanish Society of Hematology and Pediatric Oncology (SEHOP), Madrid, Spagna, Mag. 25-27, 2017

Meeting Club del Globulo Rosso & SITE, Napoli, Italia, Sett. 28-29, 2017

25° Annual Congress of the European Society of Gene & Cell Therapy, Berlino, Germania, Ott. 17-20, 2017

Sickle Cell in Focus Conference, Kingstone, Jamaica, Ott. 26-27, 2017

CTIWP - EBMT Educational Course, Leiden, Paesi Bassi, Gen 18-20, 2018

10<sup>th</sup> Stem Cell Clonality and Genome Stability Retreat, Chicago, USA, Mag. 15, 2018

21<sup>st</sup> Hemoglobin Switching Annual Conference, Oxford, UK; Sett. 21-23, 2018

10° Congresso Nazionale SITE, Roma, Italia; Sett. 27-29, 2018

Gene Therapy for Rare Monogenic Diseases Symposium, Parigi, Francia; Feb. 7-8, 2019

International Conference on Erythropoiesis Control and Ineffective Erythropoiesis: From Bench to Bedside, Budapest, Ungheria, Mar. 15-17, 2019

ESGCT Spring School 2019, Napoli, Italia; Apr. 3-5, 2019

4<sup>th</sup> Meeting of Hellenic Society of Gene Therapy and Regenerative Medicine, Atene, Grecia; Mag. 17-18, 2019

European Society of Human Genetics Meeting, Gothenburg, Svezia, Giu. 15-18, 2019

Blood Disorders- Models, Mechanisms and Therapies Meeting, Boston, USA, Sett. 28 – Ott. 1, 2019

11<sup>th</sup> Stem Cell Clonality and Genome Stability Retreat, Barcellona, Spagna, Ott. 21-22, 2019

ESGCT 27° Annual Congress, Barcellona, Spagna, Ott. 22-25, 2019

EHA WSG Meeting on Red Cell and Iron, Madrid, Spagna, Nov. 7-9, 2019

Nature Conference on Advanced Cell Therapies and Tissue Engineering, Milano, Italia, Nov. 14-16, 2019

ASH 60th Annual Meeting, Orlando, USA, Dic. 7-10, 2019

ASGCT 24th Annual Meeting, Virtual, Mag. 11-14, 2021

Inborn Errors Working Party Annual Conference, Milano, Italia, Sett. 24–26, 2021

ESGCT 28° Annual Congress, Virtuale, Ott. 19-22, 2021

ESGCT Spring School 2022, Atene, Grecia, Apr. 27-29, 2022

IUBMB Focused Meeting on Hemoglobin Switching, Creta, Grecia, Mag. 5-9, 2022

ISSCR Annual Meeting, San Francisco, USA, Giu. 15-18, 2022

2° ATMP ADVANCE Development Workshop, Roma, ITALIA, Giu. 20-24, 2022

ESGCT 29th Annual Congress, Edinburgo, UK, Ott. 11-14, 2022

11° Cooley's Anemia Symposium, New York, USA, Ott. 17-20, 2022

## **PUBBLICAZIONI SELEZIONATE**

- 1) Aprile A., Sighinolfi S., Raggi L. and Ferrari G. Targeting the Hematopoietic Stem Cell Niche in Thalassemia and Sickle Cell Disease. *Pharmaceuticals*. 2022, 15(5), 592.
- 2) Mende N., Bastos H.P., Santoro A., Mahbubani K.T., Ciaurro V., Calderbank E.F., Londoño M.Q., Sham K., Mantica G., Morishima T., Mitchell E., Lidonnici M.R., Meier-Abt F., Hayler D., Jardine L., Curd A., Haniffa M., **Ferrari G.**, Takizawa H., Wilson N.K., Göttgens B., Saeb-Parsy K., Frontini M. and Laurenti E. Unique molecular and functional features of extramedullary hematopoietic stem and progenitor cell reservoirs in humans. *Blood*. 2022 Jan 24; blood.2021013450. Online ahead of print.
- 3) Naldini L., Cicalese MP., Bernardo ME., Gentner B., Gabaldo G., **Ferrari G.** and Aiuti A. The EHA Research Roadmap: Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy. *HemaSphere*. 2022 6:2(e671).
- 4) **Ferrari G.**, Thrasher A.J. and Aiuti A. Gene therapy using haematopoietic stem and progenitor cells. *Nature Reviews Genetics*. 2021 Apr; 22(4):216-234.
- 5) Nai A., Lidonnici MR., Federico G., Pettinato M., Olivari V., Carrillo F., Geninatti Crich S., Ferrari G., Camaschella C., Silvestri L., Carlomagno F. NCOA4-mediated ferritinophagy in macrophages is crucial to sustain erythropoiesis in mice. *Haematologica*. 2021 Mar 1; 106(3): 795–805.
- 6) Pavani G., Fabiano A., Laurent M., Amor F., Cantelli E., Chalumeau A., Maule G., Tachtsidi A., Concordet JP., Cereseto A., Mavilio F., **Ferrari G.**, Miccio A. and Amendola A. Correction of  $\beta$ -thalassemia by CRISPR/Cas9 editing of the  $\alpha$ -globin

- locus in human hematopoietic stem cells. *Blood Advances*. 2021 Mar 9;5(5):1137-1153
- 7) Chanut F., Sanvito F., **Ferrari G.**, Visigalli I., Carriglio N., Hernandez R.J., Norata R., Doglioni C., Naldini L., and Cristofori P. Conditioning regimens in long term nonclinical studies to support development of ex-vivo gene therapy: review of non-proliferative and proliferative changes. *Hum Gene Ther*. 2021 Jan;32(1-2):66-76. Epub 2020 Oct 15.
  - 8) Casu C., Pettinato M., Liu A., Aghajan M., Lo Presti V., Lidonnici MRL., Munoz KA., O'Hara E., Olivari V., Di Modica SM., Booten S., Guo S., Neil G., Miari R., Shapir N., Zafir-Laviel., Domev H., **Ferrari G.**, Sitara D., Nai A. and Rivella S. Correcting  $\beta$ -thalassemia by combined therapies that restrict iron and modulate erythropoietin activity. *Blood*. 2020 Oct 22;136(17):1968-1979
  - 9) Aprile A., Gulino A., Storto M., Villa I., Beretta S., Merelli I., Rubinacci A, Ponzoni M., Markt S., Tripodo C., Lidonnici MR. and **Ferrari G.** Hematopoietic stem cell function in  $\beta$ -thalassemia is impaired and is rescued by targeting the bone marrow niche. *Blood*. 2020 Jul 30;136(5):610-622
  - 10) Artuso I., Pettinato M., Nai A., Pagani A., Sardo U., Billoré B., Lidonnici MR., Bennett C., Mandelli G., Pasricha SR., **Ferrari G.**, Camaschella C., Kautz L., Silvestri L. Transient decrease of serum iron after acute erythropoietin treatment contributes to hepcidin inhibition by ERFE in mice. *Haematologica*. 2019 Mar;104(3):e87-e90. Epub 2018 Sep 28.
  - 11) Crippa S., Rossella V., Aprile A., Silvestri L., Ravis S., Scaramuzza S., Pirroni S., Avanzini MA., Basso-Ricci L., Hernandez RJ., Zecca M., Markt S., Ciceri F., Aiuti A., **Ferrari G.**, Bernardo ME. Bone marrow stromal cells from  $\beta$ -thalassemia patients have impaired hematopoietic supportive capacity. *J Clin Invest*. 2019 Feb 25; 129(4):1566-1580. eCollection 2019 Feb 25.
  - 12) Markt S., Scaramuzza S., Cicalese MP., Giglio F., Galimberti S., Lidonnici MR., Calbi V., Assanelli A., Bernardo ME., Rossi C., Calabria A., Milani R., Gattillo S., Benedicenti F., Spinozzi G., Aprile A., Bergami A., Casiraghi M., Consiglieri G., Maserà N., D'Angelo E., Mirra N., Origa R., Tartaglione I., Perrotta S., Winter R., Coppola M., Viarengo G., Santoleri L., Graziadei G., Gabaldo M., Valsecchi MG., Montini E., Naldini L., Cappellini MD., Ciceri F., Aiuti A., **Ferrari G.** Intrabone hematopoietic stem cell gene therapy for adult and pediatric patients affected by transfusion-dependent  $\beta$ -thalassemia. *Nat Med*. 2019 Feb;25(2):234-241. Epub 2019 Jan 21.
  - 13) Lidonnici MR., Paleari Y., Tiboni F., Mandelli G., Rossi C., Vezzoli M., Aprile A., Lederer C., Ambrosi A., Chanut F., Sanvito F., Calabria A., Poletti V., Mavilio F., Montini E., Naldini L., Cristofori P. and **Ferrari G.** Multiple integrated non-clinical studies predict safety of lentiviral mediated gene therapy. *Molecular Therapy - Methods & Clinical Development*. 2018 Sep 13; 11: 9-28. eCollection 2018 Dec 14.
  - 14) \*Artuso I., \*Lidonnici MR., Altamura S., Mandelli G., Pettinato MT., Muckenthaler MU., Silvestri L., **Ferrari G.**, Camaschella C., Nai A. Transferrin Receptor 2 is a potential novel therapeutic target for beta-thalassemia: evidence from a murine model. *Blood*. 2018 Nov 22; 132(21):2286-2297. Epub 2018 Sep 12.  
\*co-first authors
  - 15) Lidonnici MR. and **Ferrari G.** Gene therapy and gene editing strategies for hemoglobinopathies. *Blood Cells Mol Dis*. 2018 May; 70:87-101. Epub 2018 Jan 3
  - 16) **Ferrari G.**, Cavazzana M. and Mavilio F. Gene therapy approaches to hemoglobinopathies. *Hematol Oncol Clin N Am*. 2017 Oct; 31(5):835–852.
  - 17) Lidonnici MR., Aprile A., Frittoli MC., Mandelli G., Paleari Y., Spinelli A., Gentner B., Zambelli M., Parisi C., Bellio L., Cassinerio E., Zanaboni L., Cappellini MD., Ciceri F.,

- Markt S. and **Ferrari G.** Plerixafor and G-CSF combination mobilizes hematopoietic stem and progenitor cells with a distinct transcriptional profile and a reduced in vivo homing capacity compared to Plerixafor alone. *Haematologica*. 2017 Apr; 102(4):e120-e124. Epub 2016 Dec 29.
- 18) Zonari E., Desantis G., Petrillo C., Boccalatte FE., Lidonnici MR., Kajaste-Rudnitski AC., Aiuti A., **Ferrari G.**, Naldini L., and Gentner B. Efficient ex vivo engineering and expansion of highly purified human hematopoietic stem/progenitor cell populations for gene therapy. *Stem Cell Reports*. 2017 Apr 11; 8(4):977-990. Epub 2017 Mar 16.
- 19) Romano O., Peano C., Malagoli Tagliazucchi G., Petiti L., Poletti V., Cocchiarelli F., Rizzi E., Severgnini M., Cavazza A., Rossi C., Pagliaro P., Ambrosi A., **Ferrari G.**, Bicciato S., De Bellis G., Mavilio F. and Miccio A. Transcriptional, epigenetic and retroviral integration signatures identify regulatory regions involved in lineage commitment of human hematopoietic stem/progenitor cells. *Scientific Report*. 2016 Apr 20; 6:24724
- 20) Aprile A., Passerini G., Cappellini MD., Markt S., Ciceri F., **Ferrari G.** and Ceriotti F. When diagnostics meets translational research: detection of hemoglobin fractions in cellular lysates from in vitro erythroid cultures by Capillarys2 Flex Piercing® analyzer (Sebia). *Transl. Res*. 2016 Mar; 169: 31-39.e1-4. Epub 2015 Oct 31.
- 21) \*Nai A., \*Lidonnici MR., Rausa M., Mandelli G., Pagani A., Silvestri L., **Ferrari G.**, Camaschella C. The second transferrin receptor regulates red blood cell production in mice. *Blood*. 2015 Feb 12; 125(7):1170-9. Epub 2014 Dec 11. \*equal contribution.
- 22) Nai A., Pagani A., Mandelli G., Lidonnici MR., Silvestri L., **Ferrari G.**, Camaschella C. Deletion of Tmprss6 attenuates the phenotype in a mouse model of  $\beta$ -thalassemia. *Blood*. 2012 May 24; 119(21):5021-5029. Epub 2012 Apr 6.
- 23) Moiani A., Paleari Y., Sartori D., Mezzadra R., Miccio A., Cattoglio C., Cocchiarella F., Lidonnici MR., \***Ferrari G.**, \*Mavilio F. Lentiviral vector integration in the human genome induces alternative splicing and generates aberrant transcripts. *J Clin Invest*. 2012 May; 122(5):1653-66. Epub 2012 Apr 23. \*co-corresponding authors
- 24) Roth JC., Ismail M., Reese JS., Lingas KT., **Ferrari G.**, Gerson SL. Co-transduction with MGMT and ubiquitous or erythroid-specific GFP lentiviruses allows enrichment of dual-positive hematopoietic progenitor cells in vivo. *ISRN Hematol*. 2012; 2012:212586. Epub 2012 July 19
- 25) Frittoli MC., Biral E., Cappelli B., Zambelli M., Roncarolo MG., **Ferrari G.**, Ciceri F., Markt S. Bone marrow as source of hematopoietic stem cells for human gene therapy of beta thalassemia. *Hum Gene Ther*. 2011 Apr; 22(4):507-13. Epub 2011 Mar 4
- 26) Cantù C., Ierardi R., Alborelli I., Fugazza C., Cassinelli L., Piconese S., Bosè F., Ottolenghi S., **Ferrari G.**, Ronchi A. Sox6 enhances erythroid differentiation in human erythroid progenitors. *Blood*. 2011 Mar 31; 117(13):3669-79. Epub 2011 Jan 24.
- 27) Andreani M., Testi M., Gaziev J., Condello R., Bontadini A., Tazzari PL., Ricci F., De Felice L., Agostini F., Fraboni D., **Ferrari G.**, Battarra M., Troiano M., Sodani P., Lucarelli G. Quantitatively different red cell/nucleated cell chimerism in patients with long-term, persistent hematopoietic mixed chimerism after bone marrow transplantation for thalassemia major or sickle cell disease. *Haematologica*. 2011 Jan; 96(1):128-33. Epub 2010 Oct 7.
- 28) Cantù C., Grande V., Alborelli I., Cassinelli L., Cantù I., Colzani MT., Ierardi R., Ronzoni L., Cappellini MD., **Ferrari G.**, Ottolenghi S., Ronchi A. A Highly conserved SOX6 double binding site mediates SOX6 gene downregulation in erythroid cells. *Nucl Acid Res*. 2011 Jan; 39(2):486-501. Epub 2010 Sep 17.

- 29) Miccio A., Poletti V., Tiboni F., Rossi C., Antonelli A., Fulvio Mavilio F. and **Ferrari G.** The GATA1-HS2 enhancer allows persistent and position-independent expression of a  $\beta$ -globin transgene. *PLoS One*. 2011;6(12):e27955. Epub 2011 Dec 2
- 30) Roselli EA., Mezzadra R., Frittoli MC., Maruggi G., Biral E., Mavilio F., Mastropietro F., Amato A., Tonon G., Refaldi C., Cappellini MD., Andreani M., Lucarelli G., Roncarolo MG., Markt S., **Ferrari G.** Correction of  $\beta$ -thalassemia major by gene transfer in hematopoietic progenitors of pediatric patients. *EMBO Mol Med*. 2010 Aug;2(8):315-28.
- 31) Frenquelli M., Muzio M., Scielzo C., Fazi C., Scarfo' L., Rossi C., **Ferrari G.**, Ghia P., Caligaris-Cappio F. MicroRNA and proliferation control in chronic lymphocytic leukemia: functional relationship between miR-221/222 cluster and p27. *Blood*. 2010 May 13;115(19):3949-59. Epub 2010 Mar 4.
- 32) Xynos A., Corbella P., Belmonte N., Zini R., Manfredini R., **Ferrari G.** Bone marrow-derived hematopoietic cells undergo myogenic differentiation following a Pax-7 independent pathway. *Stem Cells*. 2010 May;28(5):965-73.
- 33) Sordi V., Melzi R., Mercalli A., Formicola R., Doglioni C., Tiboni F., **Ferrari G.**, Nano R., Chwalek K., Borg D., Lammert E., Bonifacio E., Piemonti L. Mesenchymal cells appearing in pancreatic tissue culture are bone marrow-derived stem cells with the capacity to improve transplanted islet function. *Stem Cells*. 2010 Jan;28(1):140-51
- 34) Cantarelli E., Melzi R., Mercalli A., Sordi V., **Ferrari G.**, Lederer CW., Mrak E., Rubinacci A., Ponzoni M., Sitia G., Guidotti LG., Bonifacio E., Piemonti L. Bone marrow as an alternative site for islet transplantation. *Blood*. 2009 Nov 12;114(20):4566-74. Epub 2009 Sep 22.
- 35) Felice B., Cattoglio C., Cittaro D., Testa A., Miccio A., **Ferrari G.**, Luzi L., Recchia A., Mavilio F. Transcription factor binding sites are genetic determinants of retroviral integration in the human genome. *PLoS ONE*. 2009;4(2):e4571. Epub 2009 Feb 24.
- 36) Mavilio F. and **Ferrari G.** Genetic modification of somatic stem cells. The progress, problems and prospects of a new therapeutic technology. *EMBO Rep*. 2008 Jul;9 Suppl 1:S64-9.
- 37) Miccio A., Cesari R., Lotti F., Rossi C., Sanvito F., Ponzoni M., Routledge SJ., Chow CM., Antoniou MN., **Ferrari G.** In vivo selection of genetically modified erythroblastic progenitors leads to long-term correction of beta-thalassemia. *Proc. Natl. Acad. Sci. U S A*. 2008 Jul 29;105(30):10547-52. Epub 2008 Jul 23.
- 38) Di Rosa P., Villaescusa JC., Longobardi E., Lotti G., Ferretti E., Diaz VM., Miccio A., **Ferrari G.** and Blasi F. The homeodomain transcription factor Prep1 (pKnox1) is required for hematopoietic stem and progenitor cell activity. *Dev. Biol*. 2007 Nov 15;311(2):324-34. Epub 2007 Aug 24.
- 39) Cattoglio C., Facchini G., Sartori D., Antonelli A., Cassani B., Schmidt M., von Kalle C., Thrasher A., Aiuti A., **Ferrari G.**, Recchia A. and Mavilio F. Hot spots of retroviral integration in CD34+ hematopoietic stem/progenitor cells. *Blood*. 2007 Sep 15;110(6):1770-8. Epub 2007 May 16.
- 40) Mavilio F., Pellegrini G., Ferrari S., Di nunzio F., Di Iorio E., Recchia A., Maruggi G., **Ferrari G.**, Provasi E., Bonini C., Capurro S., Conti A., Magnoni C., Giannetti A. and De Luca M. Correction of junctional epidermolysis bullosa by transplantation of genetically-modified epidermal stem cells. *Nat. Med*. 2006 Dec;12(12):1397-402. Epub 2006 Nov 19.
- 41) Menegon A., Bonanomi D., Albertinazzi C., Lotti F., **Ferrari G.**, Kao HT., Benfenati F. and Valtorta F. Protein kinase A-mediated synapsin I phosphorylation is a central modulator of Ca<sup>2+</sup>-dependent synaptic activity. *J. Neurosci*. 2006 Nov 8;26(45):11670-81

- 42) Ferretti E., Villaescusa JC., Di Rosa P., Fernandez-Diaz LC., Longobardi E., Mazzieri R., Miccio A., Micali N., Selleri L., **Ferrari G.** and Blasi F. Hypomorphic mutation of the TALE gene Prep1 (pKnox1) causes a major reduction of Pbx and Meis proteins and a pleiotropic embryonic phenotype. *Mol Cell. Biol.* 2006 Aug;26(15):5650 -62.
- 43) Bonanomi D., Menegon A., Miccio A., **Ferrari G.**, Benfenati F., Kao HT., Greengard P., Corradi A. and Valtorta F. Phosphorylation of synapsin I by cyclic AMP-dependent protein kinase controls synaptic vesicle dynamics in developing neurons. *J. Neurosci.* 2005 Aug 10;25(32):7299-308.
- 44) Sordi V., Malosio ML., Marchesi F., Mercalli A., Melzi R., Giordano T., Belmonte N., **Ferrari G.**, Leone BE., Bertuzzi F., Zerbini G., Allavena P., Bonifacio E., and Piemonti L. Bone marrow mesenchymal stem cells express a restricted set of functionally active chemokine receptors capable of promoting migration to pancreatic islets. *Blood.* 2005 Jul 15;106(2):419-27. Epub 2005 Mar 22.
- 45) Urbinati F., Lotti F., Facchini G., Montanari M., **Ferrari G.**, Mavilio F. and Grande A. Competitive engraftment of hematopoietic stem cells genetically modified with a truncated erythropoietin receptor. *Hum. Gene Ther.* 2005 May;16(5):594-608.
- 46) Lemoli RM., Bertolini F., Cancedda R., De Luca M., Del Santo A., **Ferrari G.**, Ferrari S., Martino G., Mavilio F. and Tura S. Stem cell plasticity: time for a reappraisal? *Haematologica.* 2005 Mar;90(3):360-81.
- 47) Testa A., Lotti F., Cairns L., Grande A., Ottolenghi S., **Ferrari G.**, Ronchi A. Deletion of a negatively acting sequence in a chimeric GATA-1 enhancer-LTR greatly increases retroviral-mediated erythroid expression. *J Biol Chem.* 2004 Mar 12;279(11):10523-31. Epub 2003 Dec 29.
- 48) Bonini C., Grez M., Traversari C., Ciceri F., Marktel S., **Ferrari G.**, Dinauer M., Sadat M., Aiuti A., Deola S., Radrizzani M., Hagenbeek A., Apperley J., Ebeling S., Martens A., Kolb HJ., Weber M., Lotti F., Grande A., Weissinger E., Bueren JA., Lamana M., Falkenburg JH., Heemskerk MH., Austin T., Kornblau S., Marini F., Benati C., Magnani Z., Cazzaniga S., Toma S., Gallo-Stampino C., Introna M., Slavin S., Greenberg PD., Bregni M., Mavilio F., Bordignon C. Safety of retroviral gene marking with a truncated NGF receptor. *Nat. Med.* 2003 Apr;9(4):367-9.
- 49) **Ferrari G.** and Mavilio F. Myogenic stem cells from the bone marrow: a therapeutic alternative for muscular dystrophy? *Neuromuscular Disord.* 2002 Oct; 12 Suppl 1:S7-10.
- 50) Aiuti A., Vai S., Mortellaro A., Casorati G., Ficara F., Andolfi G., **Ferrari G.**, Tabucchi A., Carlucci F., Marinello E., Marziliano N., Bernardi M., Ochs H.D., Notarangelo LD., Roncarolo MG. and Bordignon C. Immune reconstitution in ADA-SCID after PBL gene therapy and discontinuation of enzyme replacement. *Nat. Med.* 2002 May;8(5):423-5
- 51) Lotti F., Menguzzato E., Rossi C., Naldini L., Ailles L., Mavilio F. and **Ferrari G.** Transcriptional targeting of lentiviral vectors by LTR enhancer replacement. *J. Virol.* 2002 Apr;76(8):3996-4007.
- 52) McKinney-Freeman SL., Jackson KA., Camargo FD., **Ferrari G.**, Mavilio F. and Goodell MA. Muscle-derived hematopoietic stem cells are hematopoietic in origin. *Proc. Natl. Acad. Sci. USA.* 2002 Feb 5;99(3):1341-6.
- 53) **Ferrari G.**, Stornaiuolo A. and Mavilio F. Failure to correct murine muscular dystrophy. *Nature.* 2001 Jun 28;411(6841):1014-5.
- 54) Dellambra E., Pellegrini G., Guerra L., **Ferrari G.**, Zambruno G., Mavilio F. and De Luca M. Toward epidermal stem cell-mediated ex vivo gene therapy of junctional epidermolysis bullosa. *Hum. Gene Ther.* 2000 Nov 1;11(16):2283-7.
- 55) Rogge L., Bianchi E., Biffi M., Bono E., Chang SP., Alexander H., Santini C., **Ferrari G.**, Sinigaglia L., Seiler M., Neeb M., Mous J., Sinigaglia F. and Certa U. Transcript

- imaging of human T helper cell development using oligonucleotide arrays. *Nat. Genet.* 2000 May;25(1):96-101.
- 56) Berghella L., De Angelis L., Coletta M., Berarducci B., Sonnino C., Salvatori G., Anthonissen C., Couper R., Butler-Brown GS., Mouly V., **Ferrari G.**, Mavilio F. and Cossu G. Reversible immortalization of human primary myoblasts by site-specific excision of a retrovirally-transferred oncogene. *Hum. Gene Ther.* 1999 Jul 1;10(10):1607-17.
- 57) Grande A., Piovani B., Aiuti A., Ottolenghi S., Mavilio F. and **Ferrari G.** Transcriptional targeting of retroviral vectors to the erythroblastic progeny of transduced hematopoietic stem cells. *Blood.* 1999 May 15;93(10):3276-85.
- 58) Lattanzi L., Salvatori G., Coletta M., Sonnino C., Cusella De Angelis MG., Gioglio L., Murry CE., Kelly R., **Ferrari G.**, Molinaro M., Crescenzi M., Mavilio F. and Cossu G. High efficiency myogenic conversion of human fibroblasts by adenoviral vector-mediated MyoD gene transfer. An alternative strategy for ex vivo gene therapy of primary myopathies. *J. Clin. Invest.* 1998 May 15;101(10):2119-28.
- 59) D'Aloja P., Olivetta E., Bona R., Nappi F., Pedacchia D., Pugliese K., **Ferrari G.**, Verani P., Federico M. Gag, vif, and nef genes contribute to the homologous viral interference induced by a nonproducer human immunodeficiency virus type 1 (HIV-1) variant: identification of novel HIV-1-inhibiting viral protein mutants. *J. Virol.* 1998 May;72(5):4308-19.
- 60) **Ferrari G.**, Cusella De Angelis MG., Coletta M., Paolucci E., Stornaiuolo A., Cossu G. and Mavilio F. Muscle regeneration by bone marrow-derived myogenic progenitors. *Science.* 1998 Mar 6;279(5356):1528-30.
- 61) **Ferrari G.** and Mavilio F. Retroviral vectors for human gene therapy. *Gene Ther.* NATO ASI Series vol.105, (K.G. Xanthopoulos Ed.) Springer Verlag. 1998; 119-132.
- 62) Bona R., D'Aloja P., Olivetta E., Modesti A., Modica A., Geraci A., **Ferrari G.**, Verani P., Federico M. Aberrant, noninfectious HIV-1 particles are released by chronically infected human T cells transduced with a retroviral vector expressing an interfering HIV-1 variant. *Gene Ther.* 1997 Oct;4(10):1085-92.
- 63) Ruggieri L., Aiuti A., Salomoni M., Zappone E., **Ferrari G.**, Bordignon C. Cell surface marking of CD34+ DR+/DR- restricted phenotypes of human hematopoietic progenitor cells by retroviral-mediated gene transfer. *Hum. Gene Ther.* 1997 Sep 1;8(13):1611-23.
- 64) Bonini C., **Ferrari G.**, Verzeletti S., Servida P., Zappone E., Ruggieri L., Ponzoni M., Rossini S., Mavilio F., Traversari C., Bordignon C. HSV-tk gene transfer into donor lymphocytes for controlled allogeneic graft versus leukemia. *Science.* 1997 Jun 13;276(5319):1719-24.
- 65) Mathor MB., **Ferrari G.**, Dellambra E., Cilli M., Mavilio F., Cancedda R., De Luca M. Clonal analysis of stably transduced human epidermal stem cells in culture. *Proc. Natl. Acad. Sci. USA.* 1996 Sep 17;93(19):10371-6.
- 66) Federico M., Nappi F., **Ferrari G.**, Chelucci C., Mavilio F. and Verani P. A non-producer interfering HIV-1 provirus can be transduced through a MLV-based retroviral vector: recovery of an anti-HIV mouse/human pseudotype retrovirus. *J Virol.* 1995 Nov;69(11):6618-26.
- 67) Bordignon C., Notarangelo LD., Nobili N., **Ferrari G.**, Casorati G., Panina P., Mazzolari E., Maggioni D., Rossi C., Servida P., Ugazio AG., Mavilio F. Gene Therapy in Peripheral Blood Lymphocytes and Bone Marrow for ADA-Immunodeficient Patients. *Science.* 1995 Oct 20;270(5235):470-5.
- 68) Salvatori G., Lattanzi L., Coletta M., Aguanno S., Vivarelli E., Kelly R., **Ferrari G.**, Harris AJ., Mavilio F., Molinaro M., Cossu G. Myogenic conversion of mammalian

- fibroblasts induced by differentiating muscle cells. *J. Cell Sci.* 1995 Aug;108 (Pt 8):2733-9.
- 69) **Ferrari G.**, Salvatori G., Rossi C., Cossu G., Mavilio F. A retroviral vector containing a muscle-specific enhancer drives gene expression only in differentiated muscle fibers. *Hum. Gene Ther.* 1995 Jun;6(6):733-42.
- 70) Silvani A., **Ferrari G.**, Paonessa G., Toniatti C., Parmiani G., Colombo MP. Down regulation of IL-6Ra chain in IL-6-transduced melanoma cells causes selective resistance to IL-6- but not to oncostatin M. *Cancer Res.* 1995 May 15;55(10):2200-5.
- 71) Pericle F., Giovarelli M., Colombo MP., **Ferrari G.**, Musiani P., Modesti A. Cavallo F. Di Pierro F., Novelli F., Forni G. An efficient Th2-type memory follows CD8+lymphocyte driven and eosinophil mediated rejection of a spontaneous mouse mammary adenocarcinoma engineered to release IL-4. *J. Immunol.* 1994 Dec 15;153(12):5659-73.
- 72) Mavilio F., **Ferrari G.**, Rossini S., Nobili N., Bonini C., Casorati G., Traversari C., Bordignon C. Peripheral blood lymphocytes as target cells of retroviral vector-mediated gene transfer. *Blood.* 1994 Apr 1;83(7):1988-97.
- 73) Salvatori G., **Ferrari G.**, Mezzogiorno A., Servidei S., Coletta M., Tonali P., Giavazzi R., Cossu G., Mavilio F. Retroviral vector-mediated gene transfer into human primary myogenic cells leads to expression into muscle fibers in vivo. *Hum. Gene Ther.* 1993 Dec;4(6):713-23.
- 74) Bordignon C., Mavilio F., **Ferrari G.**, Servida P., Ugazio AG., Notarangelo LD., Gilboa E. Clinical protocol: transfer of the ADA gene into bone marrow cells and peripheral blood lymphocytes for the treatment of patients affected by ADA-deficient SCID. *Hum. Gene Ther.* 1993 Aug;4(4):513-20.
- 75) **Ferrari G.**, Rossini S., Nobili N., Maggioni D., Garofalo A., Giavazzi R., Mavilio F., Bordignon C. Transfer of the ADA gene into human ADA-deficient T lymphocytes reconstitutes specific immune function. *Blood.* 1992 Sep 1;80(5):1120-4.
- 76) Colombo MP., **Ferrari G.**, Stoppacciaro A., Parenza M., Rodolfo M., Mavilio F. and Parmiani G. Granulocyte colony-stimulating factor (G-CSF) gene transfer suppresses tumorigenicity of a murine adenocarcinoma in vivo. *J. Exp. Med.* 1991 Apr 1;173(4):889-97.
- 77) **Ferrari G.**, Rossini S., Giavazzi R., Maggioni D., Nobili N., Soldati M., Ungers G., Mavilio F., Gilboa E. and Bordignon C. An in vivo model of Somatic cell gene therapy for human severe combined immunodeficiency. *Science.* 1991 Mar 15;251(4999):1363-6.

Autorizzo il trattamento dei dati personali ai sensi del D. lgs. 196/03



Giuliana Ferrari  
Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica  
Professore Ordinario di Biologia Molecolare  
Università "Vita-Salute" San Raffaele  
Via Olgettina, 58  
20132 Milan, Italy