

CURRICULUM VITAE

Name Santa Anna Acuto

Date of birth May 19, 1958

Nationality Italian

Work address Campus of Hematology “ F and P Cutino”, Division of Ematologia e Malattie Rare del Sangue e Degli Organi Ematopoietici, AOOR Villa Sofia-Cervello, via Trabucco, 180 – 90146, Palermo, Italy

Telephon +39 091 680 2433 - (mobile) +31 3295377112

Fax +39 091 6880828

E-mail santina.acuto@villasofia.it

Education

1995 Specialization in Medical Genetics, Faculty of Medicine & Surgery Faculty, University of Catania, Italy

1981 Laurea in Scienze Biologiche 110/110 *cum laude*, Faculty of Biology, Mathematic and Natural Sciences, University of Palermo, Italy

Research Activities:

1990 - present: Biologist group leader, Campus of Hematology, Ospedali Riuniti “Villa Sofia-Cervello”, Palermo, Italy.

2012 - present: AIFA-Certified Qualify Person for Manufacturing Advanced Therapies Medicinal Products, Campus of Hematology, Ospedali Riuniti “Villa Sofia-Cervello”, Palermo, Italy.

1988 - 1990: Post-doctoral Fellow, ARS- DL20, Regional Research Program on Thalassemia, Hematology Dep. “V.Cervello” Hospital, Palermo, Italy.

1985 - 1987 Post-doctoral fellow, Human Genetic Dep., Columbia University, New York, USA.

1982 - 1984 Post-graduate trainee, Molecular and Cellular Biology Dep., University of Palermo, Italy

Teaching activities:

1987 - 1988 Professor of Science and Mathematics, secondary school Palermo, MIUR, Italy

2015 (16/2/2015 - 31/7/2015) tutorship, International Master of Science in Paediatric Medicines Development and Evaluation, University of Rome Tor Vergata/Children's Hospital Bambino Gesù, Rome, Italy

2014 - present: Professor of "Gene and Cell Therapies" (ADO course), BIONEC Dip., University of Palermo, Italy.

Project leader 17 research projects granted by national and international institutions.

Mentor of students for degree theses in Scienze Biologiche, Biotecnologia and Biotecnologie Mediche, and **Supervisor** of several student for PhD theses, University of Palermo.

Member of board scientific committee, University of Palermo.

Invited speaker at several National and International Conferences.

Patents holder: National Patent Nr. RM 2002A000511 and International Patent Nr. PCT/IT03/00611 for "Use of the sea urchin genomic insulator sns for gene therapy of erythroid diseases"

Membership: European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT); American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT)

Peer reviewed Publications:

- Baiamonte E, Barone R, Contin F, Di Stefano R, Marfia A, Filosa A, D'Angelo E, Feo S, **Acuto S**, and Maggio A. *Granulocyte-colony-stimulating factor plus plerixafor mobilization in patients with b-thalassemia major: plerixafor results in the effective mobilization of primitive CD34+ cells with specific gene expression* **Thalassemia Report** , 7(6392):11-17 (2017)

- Lo Iacono M, Anzalone R, La Rocca G, Baiamonte E, Maggio A, **Acuto S**. *Wharton's Jelly Mesenchymal Stromal Cells as a Feeder Layer for the Ex Vivo Expansion of Hematopoietic Stem and Progenitor Cells: a Review*. **Stem Cell Rev.** 13(1): 35-49 (2017)
- Baiamonte E, Spinelli G, Maggio A, **Acuto S**, Cavalieri V. *The Sea Urchin *sns5* Chromatin Insulator Shapes the Chromatin Architecture of a Lentivirus Vector Integrated in the Mammalian Genome*. **Nucleic Acid Therapeutics**. Oct;26(5):318-326 (2016)
- Baiamonte E., Barone R, Di Stefano R., Lo Iacono M., Spina B., Contino F., Di Maggio R., Sacco M., Vitrano A., Feo S., Maggio A., and Acuto S. *Hematopoietic Stem Cell Mobilization for Gene Therapy: The combination of G-CSF+Plerixafor in patients with β -Thalassemia Major provide high yields of CD34+ cells with primitive signatures*. **Blood**, 126(23): 4412 (2015)
- Baiamonte E., Di Stefano R., Lo Iacono M., Spina B., Vitrano A., Di Maggio R., Sacco M., Spinelli G., Maggio A., **Acuto S**. and Cavalieri V. *The sea urchin *sns5* chromatin insulator improves the likelihood of lentiviral vector in erythroid milieu by organizing an independent chromatin domain at the integration site*. **Blood**, 126(23): 4414 (2015)
- Di Stefano R., Baiamonte E., Lo Iacono M., Spina B., Contino F., Coronello C., Sacco M., Di Maggio R., Vitrano A., Feo S., Maggio A., and **Acuto S**. *The challenge of using CB-HSC as source for gene therapy: Lentiviral vector transduction, phenotypic characterization and global gene expression profile of ex-vivo expanded CB-CD34+ cells*. **Blood**, 126 (23): 5548 (2015)
- Lo Iacono M., Baiamonte E., Di Stefano R., Spina B., Sacco M., Di Maggio R., Vitrano A., Maggio A., Acuto S. *Wharton's jelly-MS-C as effective tool for expansion of purified human cord blood CD34+ hematopoietic stem cells*. **Blood** 126(23): 4770 (2015)
- **Acuto S**, Baiamonte E, Di Stefano R, Spina B, Barone R, Maggio A. *Development and recent progresses of gene therapy for β -thalassemia*. **Thalassemia Reports** 4: 90-95 (2014)
- **Acuto S**, Baiamonte E, Di Stefano R, Spina B, Barone R and Maggio A. *Development and recent progresses of gene therapy for β -thalassemia* **Thalassemia Report** 4; 90-95 (2014)
- Baiamonte E, Di Stefano R, Spina B, Maggio A, **Acuto S**. *Gene therapy for beta-thalassemia syndrome*. **Drug and Cell Therapies in Hematology** 12; 44-51 (2012)
- **Acuto S**, Di Marzo R, Ferro L, Motta V, Pecoraro A, Baiamonte E, Bagliesi M, Di Stefano L, Scolaro L, Orlando V, Troia A, Spina B, Sadelain M and Maggio A. *Genetic therapy for beta-thalassemia: state of the art and challenges it faces in human trials* **Haematologica** 96 (3): 284-287 (2011)

- 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. **British Journal of Haematology**. 151(5):509-15 (2010)
- Maggio A, **Acuto S**, Moi P, Galanallo R, Comoli P, Locatelli F, Motta V, Pecoraro A, Di Marzo R, Ferro L, Sadelain M. *Gene Therapy off haemoglobinopathy. En Italy-USA project*. **Pharmaceuticals Policy and Law** 121:51-155 (2010)
- D'Apollito 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*. **Molecular Therapy** 17(8): 1434-1441 (2009)
- Scazzone C, **Acuto S**, Guglielmini E, Campisi G, Bono A. *Methionine synthase reductase (MTRR) A66G polymorphism is not related to plasma homocysteine concentration and the risk for vascular disease*. **Exp Mol Pathol**. 86(2):131-3 (2009)
- 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*. **British Journal of Haematology**, 141:720-727(2008)
- Samakoglu S., Lisowski L., Budak-Alpdogan T., **Acuto S.**, Di Marzo R., Maggio A., Zhu P., Tisdale J., Riviere I and Sadelain M. *A genetic strategy to treat sickle cell anemia by coregulating globin transgene expression and RNA interference*. **Nature Biotechnology** 24 (1): 89-94 (2006)
- **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)
- Di Marzo R., **Acuto S.**, Calzolari R., Maggio A. *Allele-specific transcription of fetal genes in primary erythroid cell cultures from Lepore and db^o thalassaemia patients* **Experimental Hematology** 33(11): 1363-1370 (2005)
- **Acuto S.**, Di Marzo R., Calzolari R., Baiamonte E., D'Appollito D., Scazzone C., Spinelli G., Maggio A. *Sea urchin sns sequences element maintains insulator activity in erythroid cells and binds erythroid specific nuclear factors*. **Molecular therapy** 7: 1130 (2003).
- Vitale M., Calzolari R., Di Marzo R., **Acuto S.**, Maggio A. *A region Upstream of the human delta-globin gene shows a stage-specific interaction with globin promoters in erythroid cell lines*. **Blood Cells, Molecules and Diseases**. 27: 874-881 (2001).
- **Acuto S.**, Aquino A., Urzì G, Vitale M., Di Marzo R., Calzolari R., Word M., Bank A., Maggio A. *Construction and analysis in Mel cells of human β -globin gene containing retroviral vectors*. **Blood Cells, Molecules and Disease**, vol.24. (1998).

- R. Calzolari, T. Mc Morrow, M. Vitale, R. Di Marzo, **S. Acuto**, A. Maggio, F. Grosveld *The deletion of an intergenic region located upstream of delta globin gene results in down regulation of beta, but not gamma-globin gene expression in transgenic mice.* **Blood Cells, Molecules and Disease**, vol.24. (1998).
- Vitale M., Calzolari R., Di Marzo R., **Acuto S.**, Maggio A *Evolutionary conserved regulatory DNA Motifs in two ALU elements upstream of delta globin gene: a possible involvement of ALU sequence in globin gene regulation.* **Blood Cells, Molecules and Diseases** 24. (1998)
- **Acuto S.**, Urzì G., Schimmenti S., Maggio A., O'Neill D. and Bank A. *An element upstream of the human δ -globin- encoding gene specifically enhances β -globin reporter gene expression in murine erythroleukemia cells.* **Gene** 168; 237-241(1996).
- Vitale M., Di Marzo R., Calzolari R., **Acuto S.**, O'Neill D., Bank A., Maggio A. *Evidence for a globin-promoter specific silencer element located upstream of the human δ -globin gene.* **Bioch. and Bioph. Res. Communic.** 204; 413- 418 (1994).
- Santoro A., Maggio A., Carbone C., Mirto S., Caronia F. Acuto S. *Amplification of ETS-oncogene in acute nonlymphoblastic leukemia with t(6;21;18).* **Cancer Genet. Cytogen.** 58;71-75 (1992).
- Donovan-Peluso M., **Acuto S.**, O'Neill D., Hom A., Maggio A., Bank A. *The β -globin 3' enhancer element confers regulated expression on the human γ -globin gene in the human embryonic-fetal erythroleukemia cell line K562.* **Blood** 77(4); 855-860 (1991)
- Donovan-Peludo M., **Acuto S.**, O'Neill D., Kaysen J., Hom A., Maggio A., Bank A. *The regulation of gamma globin gene expression.* **Ann N Y Acad Sci** 612; 160-166 (1990).
- Maggio A., Di Marzo R., Giambona A., Renda M., **Acuto S.**, Lo Gioco P., D'Alcamo E., Di Trapani F., Marino M., Abate I., Sammarco P., Kazazian H.H. *Beta-thalassemia mutations in Sicily* **Ann N Y Acad Sci** 612; 67-73 (1990).
- Donovan-Peluso M., **Acuto S.**, O'Neill D., Kaysen J., Hom A., Bank A. *Cis and trans-acting factors regulating gamma and beta globin gene expression.* **Prog. Clin. Biol. Res.** 163-177 (1989).
- Kaysen Y., Donovan-Peluso M., **Acuto S.**, O'Neill D., Bank A. *Regulation of human fetal globin gene expression.* **Ann N Y Acad Sci.** 554: 206-216 (1989).
- Donovan-Peluso M., O'Neill D., **Acuto S.**, Bank A. *Regulation of fetal globin gene expression in human erythroleukemia (K562) cells.* **Adv. Exp. Med. Biol.** 241: 117-122 (1988).
- Maggio A., Renda M., Giambona A., Lo Gioco P., Di Marzo R., D'Alcamo E., **Acuto S.**, Rigano P., Siciliano S., Sammarco P., Caronia F., Di Trapani F., Marino M. *Tecniche del DNA ricombinante nella diagnosi prenatale di emoglobinopatie in Sicilia.* **Edi. Grasso s.r.l.** 671-674 (1988).
- Rigano P., Maggio A., Siciliano S., Magrin S., Renda M., D'Alcamo E., Lo Gioco P., Di

- Marzo R., **Acuto S.**, Sammarco P., Giambona A., Marino M:A., Di Trapani F., Caronia F. Lo screening e la diagnosi prenatale di talassemia in Sicilia. *Haematologica*. 4: 53-55 (1988)
- Caronia F., Rigano P., Maggio A., Renda M., D'Alcamo E., Siciliano S., Lo Gioco P., Di Marzo R., **Acuto S.**, Sammarco P., Marino M., Di Trapani F., Orlandi F., Giambona A., Damiani F. La diagnosi prenatale: un metodo efficace per il controllo delle nascite di talassemia ed emoglobinopatie in Sicilia. *Estr.da Il Patologo Clinico* 1; 109-111 (1988).
 - Maggio A, **Acuto S.**, Di Marzo R, Lo Gioco P, Giambona A, Sammarco P, Siciliano S, Caronia F. *Beta-thalassemia mutations in Sicily*. **Birth Defects Orig Artic Ser.** 1987;23(5A):107-10
 - Donovan-Peluso M., **Acuto S.**, Swanson M., Dobkin C., Bank A. Expression of human γ -globin genes in human Erythroleuchemia (K562) cells. *Journal of Biological Chemistry*. 262(35);17051-17057 (1987)
 - Bank A., **Acuto S.**, Giambona A., Donovan-Peluso M. Developmental. Control of Globin Gene Expression in human erythroid cells. *Prog.Clin. Biol. Res. Alan R.Liss,Inc.*221-233 (1987).
 - **Acuto S.**, Donovan-Peluso M., Giambona A., Bank A. The role of human globin genes promoters in the expression of hybrid genes in erythroid and non-erythroid cells.*Bioch. and Bioph. Res. Communic.* 143(3);1099-1106 (1987).
 - Lapoumeroulie C., **Acuto S.**, Rouabhy F., Labie D., Krshnamoorthy R., Bank A. Expression of β -thalassemia gene with abnormal splicing. *Nucleic Acids Res.* 15(20); 8195-8203 (1987).
 - La Flamme S., **Acuto S.**, Markowitz D., Vick L., Ladschultz W., Bank A. Expression of chimeric human β -and δ -globin genes during erythroid differentiation. *Jurn. of Biol. Chem.* 262(10); 4819-4826 (1987).
 - Maggio A., **Acuto S.**, Lo Gioco P., Di Marzo R., Giambona A., Sammarco P., Caronia F. β^A and β^{thal} Haplotypes in Sicily. **Human Genetic** 72;229-230 (1986).
 - Di Marzo R., Lo Gioco P., Giambona A., **Acuto S.**, Sammarco P., Oddo G., Maggio A. *Clinical severity of non-deletion form of HbH disease (--Med/alpha alpha thal).* **Scand. J. Haematologica**. 36; 39-43 (1986).
 - **Acuto S.**, Butticè G., Saitta B., Pirrone A., Gambino R., Costa C., Giambona A., Lo Gioco P., Di Marzo R., Maggio A. *alpha alpha alpha anti-4.2 Haplotype and heterozygous beta null thalassemia in a Sicilian family Haplotype.* **Human Genetics** 70; 318-320 (1985).
 - Giambona A., Lo Gioco P., Rossi C., Orlandi F, Di Marzo R., **Acuto S.**, Sammarco P., D'Alcamo E. Maggio A. *Prenatal diagnosis of hemoglobinopathies in Sicily.* **Haematologica**.1: 53-55 (1985).
 - Maggio A., Giambona A.,Lo Gioco P., Di Marzo R., Sammarco P., **Acuto S.**, Orlandi

F., Rossi C., Caronia F.. *Prenatal diagnosis of hemoglobinopathies in Sicily* **Haematologica** 70: 500-505 (1985).

- Gagliano F., Rigano P., Siciliano S., La Mantia A., Sammarco P., Lo Gioco P., **Acuto S.**, Rossi C., Giambona A. *Valutazione dell'isoelettrofocalizzazione rispetto alla sintesi delle catene nella diagnosi prenatale di talassemia.* **Bollettino della A.I.P.E.G.** 11;41-42 (1985).
- Pirrone A., Gambino R., **Acuto S.**, Butticè G., Bellavia P., Giudice G. *Ornithine decarboxilase activity correlates with the synthesis of DNA and not of rRNA in developing sea urchins.* **Cell Biology International .Reports** 7: 377-381 (1983).
- Pirrone A., Maggio A., Gambino R., Hauser D., **Acuto S.**, Romano V., Butticè G., Caronia F. *Genetic heterogeneity of β -thalassemia in western Sicily.* **Haematologica** 67: 825-836 (1982)