

CV Date	16/09/2021
---------	------------

## Part A. PERSONAL INFORMATION

First Name *	RODOLFO		
Family Name *	MURILLAS ANGOITI		
Sex *	Male	Date of Birth *	05/02/1966
ID number Social Security, Passport *	30578085E	Phone Number	(34) 914962526
URL Web			
Email Address *	rodolfo.murillas@ciemat.es		
Researcher's identification number	Open Researcher and Contributor ID (ORCID)*	0000-0001-9813-1006	
	Researcher ID	H-8121-2017	
	Scopus Author ID	6507614049	

\* Mandatory

### A.1. Current position

Job Title	Científico Titular		
Starting date	2010		
Institution	Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas		
Department / Centre			
Country		Phone Number	
Keywords	Natural sciences and health sciences		

### A.2. Previous positions

Period	Job Title / Name of Employer / Country
2002 - 2006	Investigador postdoctoral contratado / Centro de Investigaciones Energéticas Medioambientales y tecnológicas
1996 - 2002	POSTDOCTORAL / NATIONAL CANCER INSTITUTE
1992 - 1995	BECARIO FPI / Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas
2007 -	TECNICO SUPERIOR ESPECIALISTA FUNCIONARIO / Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas

### A.3. Education

Degree/Master/PhD	University / Country	Year
Biología molecular	Universidad Autónoma de Madrid	1996
Licenciado en Ciencias	Universidad del País Vasco	1991

## Part B. CV SUMMARY

## Part C. RELEVANT ACCOMPLISHMENTS

### C.1. Publications.

AC: corresponding author. (n° x / n° y): position / total authors. If applicable, indicate the number of citations

- Scientific paper.** 2021. Non-viral delivery of CRISPR-Cas9 complexes for targeted gene editing via a polymer delivery system. Gene Therapy.
- Scientific paper.** José Bonafont; Angeles Mencia; Esteban Chacón-Solano; et al.; 2021. Correction of Recessive Dystrophic Epidermolysis Bullosa by homology-directed repair-mediated genome editing Molecular Therapy. Elsevier. ACCEPTED IN FEBRUARY.

- 3 **Scientific paper.** ; Victoria Gálvez; Esteban Chacón-Solano; et al;. 2020. Efficient CRISPR-Cas9-Mediated Gene Ablation in Human Keratinocytes to Recapitulate Genodermatoses: Modeling of Netherton Syndrome. *Mol Ther Methods Clin Dev.* Elsevier. 18, pp.280-290. WOS (1)
- 4 **Scientific paper.** Jose Bonafont; Angeles Mencia; Marta García; Rodolfo Murillas; Fernando Larcher. 2019. Clinically Relevant Correction of Recessive Dystrophic Epidermolysis Bullosa by Dual sgRNA CRISPR/Cas9-Mediated Gene Editing. *Molecular Therapy.* Cell Press. 27-5, pp.986-998. WOS (22)
- 5 **Scientific paper.** ANGELES MENCIA; CRISTINA CHAMORRO; JOSE BONAFONT; et al;. 2018. Deletion of a Pathogenic Mutation-Containing Exon of COL7A1 Allows Clonal Gene Editing Correction of RDEB Patient Epidermal Stem Cells *MOLECULAR THERAPY-NUCLEIC ACIDS.* WOS (15)
- 6 **Scientific paper.** P Peking; U Koller; B Duarte; et al;. 2017. An RNA-targeted therapy for dystrophic epidermolysis bullosa. *Nucleic Acids Research.* 45-17, pp.10259-10269. WOS (13)
- 7 **Scientific paper.** Chamorro, Cristina; Mencia, Angeles; Almarza, David; et al; Murillas, Rodolfo. 2016. Gene Editing for the Efficient Correction of a Recurrent COL7A1 Mutation in Recessive Dystrophic Epidermolysis Bullosa Keratinocytes *MOLECULAR THERAPY-NUCLEIC ACIDS.* 5, pp.1-13. ISSN 2162-2531. WOS (23)
- 8 **Scientific paper.** Mencía, A.; García, M.; García, E.; et al; Del Río, M.2016. Identification of two rare and novel large deletions in ITGB4 gene causing epidermolysis bullosa with pyloric atresia. *Experimental dermatology.* ISSN 1600-0625. WOS (8)
- 9 **Scientific paper.** Duarte, B.; Miselli, F.; Murillas, R.; Espinosa Hevia, L.; Cigudosa, JC.; Recchia, A.; Del Río, M.; Larcher, F.2014. Long-term skin regeneration from a gene-targeted human epidermal stem cell clone. *Molecular therapy : the journal of the American Society of Gene Therapy.* 22-11, pp.1878-1958. ISSN 1525-0024.
- 10 **Scientific paper.** Rio, P.; Baños, R.; Lombardo, A.; et al; Bueren, JA.2014. Targeted gene therapy and cell reprogramming in Fanconi anemia. *EMBO molecular medicine.* ISSN 1757-4684.
- 11 **Scientific paper.** Moreno Maldonado, R.; Murillas, R.; Navarro, M.; et al; Ramirez, A.2014. RNAi-mediated knockdown of IKK1 in transgenic mice using a transgenic construct containing the human H1 promoter. *TheScientificWorldJournal.* 2014, pp.193803. ISSN 1537-744X.
- 12 **Scientific paper.** Chamorro, C.; Almarza, D.; Duarte, B.; et al; Larcher, F.2013. Keratinocyte cell lines derived from severe generalized recessive epidermolysis bullosa patients carrying a highly recurrent COL7A1 homozygous mutation: models to assess cell and gene therapies in vitro and in vivo. *Experimental dermatology.* 22-9, pp.601-604. ISSN 1600-0625.
- 13 **Scientific paper.** García Zaragoza, E.; Pérez Tavarez, R.; Ballester, A.; Lafarga, V.; Jiménez Reinoso, A.; Ramírez, A.; Murillas, R.; Gallego, MI.2012. Intraepithelial paracrine Hedgehog signaling induces the expansion of ciliated cells that express diverse progenitor cell markers in the basal epithelium of the mouse mammary gland. *Developmental biology.* 372-1, pp.28-72. ISSN 1095-564X.
- 14 **Scientific paper.** Almarza, D.; Bussadori, G.; Navarro, M.; Mavilio, F.; Larcher, F.; Murillas, R.2011. Risk assessment in skin gene therapy: viral-cellular fusion transcripts generated by proviral transcriptional read-through in keratinocytes transduced with self-inactivating lentiviral vectors. *Gene therapy.* 18-7, pp.674-755. ISSN 1476-5462.
- 15 **Scientific paper.** Guerrero Aspizua, S.; García, M.; Murillas, R.; et al; Del Río, M.2010. Development of a bioengineered skin-humanized mouse model for psoriasis: dissecting epidermal-lymphocyte interacting pathways. *The American journal of pathology.* 177-6, pp.3112-3136. ISSN 1525-2191.
- 16 **Scientific paper.** Sharma, P.; Murillas, R.; Zhang, H.; Kuehn, MR.2010. N4BP1 is a newly identified nucleolar protein that undergoes SUMO-regulated polyubiquitylation and proteasomal turnover at promyelocytic leukemia nuclear bodies. *Journal of cell science.* 123-Pt 8, pp.1227-1261. ISSN 1477-9137.

- 17 **Scientific paper.** Larcher, F.; Dellambra, E.; Rico, L.; et al; Del Rio, M.2007. Long-term engraftment of single genetically modified human epidermal holoclones enables safety pre-assessment of cutaneous gene therapy. *Molecular therapy : the journal of the American Society of Gene Therapy.* 15-9, pp.1670-1676. ISSN 1525-0016.
- 18 **Scientific paper.** Oberst, A.; Malatesta, M.; Aqeilan, RI.; et al; Melino, G.2007. The Nedd4-binding partner 1 (N4BP1) protein is an inhibitor of the E3 ligase Itch. *Proceedings of the National Academy of Sciences of the United States of America.* 104-27, pp.11280-11285. ISSN 0027-8424.
- 19 **Scientific paper.** Cataisson, C.; Joseloff, E.; Murillas, R.; et al; Yuspa, SH.2003. Activation of cutaneous protein kinase C alpha induces keratinocyte apoptosis and intraepidermal inflammation by independent signaling pathways. *Journal of immunology (Baltimore, Md. : 1950).* 171-5, pp.2703-2716. ISSN 0022-1767.
- 20 **Scientific paper.** Casanova, ML.; Larcher, F.; Casanova, B.; et al; Jorcano, JL.2002. A critical role for ras-mediated, epidermal growth factor receptor-dependent angiogenesis in mouse skin carcinogenesis. *Cancer research.* 62-12, pp.3402-3409. ISSN 0008-5472.
- 21 **Scientific paper.** Murillas, R.; Simms, KS.; Hatakeyama, S.; Weissman, AM.; Kuehn, MR.2002. Identification of developmentally expressed proteins that functionally interact with Nedd4 ubiquitin ligase. *The Journal of biological chemistry.* 277-4, pp.2897-3804. ISSN 0021-9258.
- 22 **Scientific paper.** Larcher, F.; Murillas, R.; Bolontrade, M.; Conti, CJ.; Jorcano, JL.1998. VEGF/VPF overexpression in skin of transgenic mice induces angiogenesis, vascular hyperpermeability and accelerated tumor development. *Oncogene.* 17-3, pp.303-314. ISSN 0950-9232.
- 23 **Scientific paper.** Larcher, F.; Robles, Al.; Duran, H.; Murillas, R.; Quintanilla, M.; Cano, A.; Conti, CJ.; Jorcano, JL.1996. Up-regulation of vascular endothelial growth factor/vascular permeability factor in mouse skin carcinogenesis correlates with malignant progression state and activated H-ras expression levels. *Cancer research.* 56-23, pp.5391-5397. ISSN 0008-5472.
- 24 **Scientific paper.** Robles, Al.; Larcher, F.; Whalin, RB.; Murillas, R.; Richie, E.; Gimenez Conti, IB.; Jorcano, JL.; Conti, CJ.1996. Expression of cyclin D1 in epithelial tissues of transgenic mice results in epidermal hyperproliferation and severe thymic hyperplasia. *Proceedings of the National Academy of Sciences of the United States of America.* 93-15, pp.7634-7642. ISSN 0027-8424.
- 25 **Scientific paper.** Murillas, R.; Larcher, F.; Conti, CJ.; Santos, M.; Ullrich, A.; Jorcano, JL.1995. Expression of a dominant negative mutant of epidermal growth factor receptor in the epidermis of transgenic mice elicits striking alterations in hair follicle development and skin structure. *The EMBO journal.* 14-21, pp.5216-5239. ISSN 0261-4189.

### C.3. R&D and innovation projects and contracts

- 1 **Project.** Corrección de mutaciones que causan RDEB y modulación de la hipersensibilidad al dolor y la inflamación mediante la edición de genes in vivo administrada por vectores virales. ISCIII AES 2021. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 01/01/2022-31/12/2024. 135.520 €.
- 2 **Project.** Protocolo preclínico de corrección de Epidermolisis Bullosa distrófica recesiva por edición génica en modelos humanizados in vivo.. RODOLFO MURILLAS ANGOITI. (CIBER ENFERMEDADES RARAS (CIBERER)). 15/05/2018-15/05/2020. 75.000 €.
- 3 **Project.** Desarrollo y evaluación pre-clínica de terapias avanzadas multimodales para la epidermolisis bullosa distrófica recesiva. Marcela Andrea Del Rio Nechaevsky. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2018-2020. 181.500 €.
- 4 **Project.** Mutation-targeted gene and pharmacological therapies for dystrophic and junctional Epidermolysis Bullosa. Eranet E-rare. Fernando larcher. (Centro de Investigaciones Energeticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2018-2020. 120.000 €.
- 5 **Project.** Terapia génica de precisión para enfermedades raras de fragilidad dermo-epidérmica. Instituto de Salud Carlos III. Fernando Larcher. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2018-2020. 111.000 €.

- 6 Project.** Designer nucleases-based NHEJ-mediated gene editing for the correction of a highly recurrent COL7A1 mutation in recessive dystrophic epidermolysis bullosa epidermal stem cells.. DEBRA International. RODOLFO MURILLAS ANGOITI. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 01/02/2017-01/02/2019. 96.500 €.
- 7 Project.** PI14/00931. Desarrollo y valoración preclínica de terapias innovadoras para terapias de enfermedades raras de piel asociadas a hiperqueratosis y fragilidad epidérmica. CENTRO DE ACUSTICA APLICADA Y EVALUACION NO DESTRUCTIVA; ISCIII (AES). Fernando Larcher. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2015-2017. 121.200 €.
- 8 Project.** Nuevas terapias para enfermedades raras de la piel basadas en mecanismos fisiopatológicos moleculares: terapia génica, celular y proteica.. Marcela Andrea Del Rio Nechaevsky. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2014-2017. 302.500 €.
- 9 Project.** PI11/1225 Desarrollo de abordajes innovadores para la terapia génica de enfermedades raras de piel. ISCIII/FIS. Fernando Larcher. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2011-2014. 123.000 €.
- 10 Project.** SAF2013-43475-R Bases moleculares, genéticas y celulares de enfermedades cutáneas: desarrollo de modelos experimentales humanizados y de procedimientos terapéuticos innovadores basados en ingeniería tisular y terapia génica. Ministerio de Ciencia e Innovación. Marcela Del Río. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 31/12/2010-31/12/2013. 363.000 €. 50%
- 11 Project.** S2010/BMD-2359 Homeostasis y Patología cutánea. SkinModel. COMUNIDAD AUTONOMA DE MADRID. Fernando Larcher. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2012-2013. 615.250 €.
- 12 Project.** Trasplante de células madre epidérmicas alogénicas (Nº Eudract: 2009-017120-38) Entidad financiadora: Ministerio de Sanidad. Acciones de dinamización del entorno investigador y tecnológico del SNS. TRA049. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2010-2011. 142.000 €.
- 13 Project.** Nuevas aproximaciones bioseguras para la terapia génica de enfermedades raras de piel. Instituto de Salud Carlos III. Fernando Larcher. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2009-2011.
- 14 Project.** Medicina regenerativa cutánea: desarrollo de modelos humanizados y abordajes terapéuticos para enfermedades hereditarias de piel.. PLAN NACIONAL. Ministerio de Educación y Ciencia (MEC) REFERENCIA DEL PROYECTO: SAF-2007-61019. Marcela Del Río. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 01/01/2007-31/12/2010. 286.000 €.
- 15 Project.** Mantenimiento de la estabilidad genómica en células madre. Implicaciones en la mejora de la bioseguridad en Medicina Regenerativa. Referencia: S2006/BIO-0306 (GSSTEM).. FERNANDO LARCHER LAGUZZI. (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas). 2007-2010. 71.000 €.
- 16 Contract.**

#### **C.4. Activities of technology knowledge transfer and results exploitation**

- 1** María José Escámez Toledano; Marta García Díez; Ángeles Mencía Rodríguez; Marcela Andrea Del río Nechaevsky; Rodolfo Murillas Angoiti; Fernando Larcher Laguzzi; José Bonafont Aragón. PCT/EP2021/051224. Gene editing for the treatment of Epidermolysis Bullosa Spain. 20/01/2021. UC3M/CIEMAT/CIBERER/FJD.
- 2** Marta García Díez; Lucía Martínez Santamaría; María del Carmen Arriba Pérez; Silvia Modamio Hoybjor; Sara María Gómez Llamas; Álvaro Meana Infiesta; María José Escámez Toledano; Jose Bonafont Aragón; Ángeles Mencía; Rodolfo Murillas Angoiti; Fernando Larcher Laguzzi. EMA/OD/0000013899;EU/3/20/2253. Orphan Drug Designation (EMA): Autologous skin equivalent graft composed of keratinocytes and fibroblasts genetically corrected by CRISPR/Cas9-mediated excision of mutation-carrying COL7A1 exon 80 for the treatment of epidermolysis bullosa. Spain. 28/02/2020. UC3M/CIEMAT/CIBERER/CCST/IIS-FJD.