

Terapia genica e neuroscienze
6CFU -Isabella Saggio-Romina Burla

Obiettivi formativi

Il corso intende discutere i progressi della biomedicina con particolare riguardo alle applicazioni nel campo della genetica e delle neuroscienze.

Si vuole formare lo studente sulla sperimentazione della medicina molecolare, anche con una visione critica sui dati ottenuti ad oggi in questo campo.

Conoscenze e comprensione

Biomedicina e vettori di terapia genica

Capacità di applicare conoscenze e comprensione

Medicina molecolare applicata alle neuroscienze

Capacità critiche e di giudizio

Valutazione dei punti forti e deboli della medicina traslazionale

Capacità di comunicare quanto appreso

Discussione di gruppo dei temi del corso

Capacità di proseguire lo studio in modo autonomo nel corso della vita

Maturazione di capacità critica oltre che della comprensione della letteratura tecnico-scientifica.

GENE THERAPY AND NEUROSCIENCE

Learning objectives

To discuss the frontiers of the research in genetics and neurosciences, focusing on the current biomedical approaches.

The course intends to focus on the up to date applications of molecular medicine, also promoting in the student a critical view on the results of current trials

Knowledge and understanding

Biomedicine and gene therapy vectors

Applying knowledge and understanding

Molecular medicine applied to neuroscience

Making judgements

Weaknesses and strengths of translational medicine

Communication skills

Team work for data discussion

Lifelong learning skills

Critical comprehension of scientific literature

Obiettivi

Il corso intende approfondire gli strumenti di terapia genica e cellulare con particolare riguardo alle applicazioni nelle neuroscienze. Si vuole formare lo studente sulla sperimentazione della biomedicina molecolare, sulle questioni tecnologiche e bioetiche, anche con una visione critica sui dati ottenuti ad oggi in questo campo.

Programma

1. Tecnologia

Saranno discussi gli strumenti di terapia genica e cellulare per la cura delle patologie genetiche e acquisite, fra cui la terapia genica additiva con sistemi virali e non virali, l'interferenza a RNA, il "genome editing (sistemi Crispr)", e l'ingegneria tissutale basata sull'uso di progenitori staminali e di cellule staminali indotte (IPS).

2. Malattia

Il corso intende analizzare le nozioni più recenti sulle basi genetiche delle malattie, fra cui quelle che colpiscono il sistema nervoso, le patologie correlate ai fenomeni di invecchiamento, i tumori.

3. Sperimentazione clinica.

Il corso prevede infine un'analisi non solo della sperimentazione animale, ma anche di quella clinica in pazienti, per acquisire elementi di biomedicina traslazionale applicata alle neuroscienze.

Prova di esame

La prova di esame sarà la discussione orale di un progetto di ricerca, frutto delle attività di laboratorio e tutoraggio che si svolgono durante il corso.

Per coloro che non possono frequentare, la prova sarà orale con domande aperte.

Prerequisiti

Conoscenze di base in genetica e biologia molecolare.

Modalità

Lezioni frontali e attività di laboratorio accompagnato da tutoraggio.

Testi

- **Advanced Textbook on Gene Transfer, Gene Therapy and Genetic Pharmacology World Scientific Scherman 2014**
- **Stem cell: biology and engineering / Puc Van Pham. Springer. 2018 ebook**
- **Gene Therapy in Neurological Disorders 1st Edition, Kindle Edition**
- **Cell and Gene Therapies (Advances and Controversies in Hematopoietic Transplantation and Cell Therapy) 1st ed. 2019 Edition, Kindle Edition**
- Gene and cell therapy: therapeutic mechanisms and strategies / edited by Nancy Smyth Templeton
- The development of human gene therapy / edited by Theodore Friedmann

- Gene therapy: principles and applications / edited by Thomas Blankenstein
- Cancer gene therapy / edited by David T. Curiel, Joanne T. Douglas
- Concepts in genetic medicine / ed. by Boro Dropulic, Barrie Carter

I testi sono disponibili per consultazione presso la biblioteca del dipartimento di Biologia e biotecnologie Charles Darwin.

Il materiale didattico delle lezioni è accessibile sul sito elearning

Gene therapy and neurosciences

6CFU -Isabella Saggio

Objectives

Discuss new frontiers of research in genetics and neurosciences, focusing on current gene and cell therapy approaches. The course intends to focus on the up to date applications of molecular medicine, also promoting in the student a critical view on the results and of bioethics issues of current trials.

Programme

1. Technology

Most up to date instruments for therapy of genetic diseases will be examined, including gene addition and cell therapy, gene transfer systems as recombinant viral vectors, tissue engineering with stem cells (embryonic, adult or induced pluripotent stem cells), genome editing (Crispr).

2. Disease

Emphasis will be given to the analysis of genetic and molecular bases of neurodegenerative diseases involving the central nervous system, of aging related diseases and of tumors.

3. Trials

Finally, the course will include not only the analysis of preclinical studies in animal models, but also the discussion of clinical trials in human patients, to understand the concept of translational biomedicine in the neurosciences.

Prerequisites

Basic knowledge in genetics and molecular biology is needed for this course.

Teaching modality

In class teaching, in class discussion, lab work with tutoring.

Exam

The exam will include the discussion of a research project created during in class lab work.

For those who can't be in class the exam will be in oral form with open questions.

Books

- **Advanced Textbook on Gene Transfer, Gene Therapy and Genetic Pharmacology World Scientific Scherman 2014**
- **Stem cell: biology and engineering / Puc Van Pham. Springer. 2018 *ebook***
- **Gene Therapy in Neurological Disorders 1st Edition, *Kindle Edition***
- **Cell and Gene Therapies (Advances and Controversies in Hematopoietic Transplantation and Cell Therapy) 1st ed. 2019 Edition, *Kindle Edition***
- Gene and cell therapy: therapeutic mechanisms and strategies / edited by Nancy Smyth Templeton
- The development of human gene therapy / edited by Theodore Friedmann
- Gene therapy: principles and applications / edited by Thomas Blankenstein
- Cancer gene therapy / edited by David T. Curiel, Joanne T. Douglas

- Concepts in genetic medicine / ed. by Boro Dropulic, Barrie Carter

These books are available at the Department of Biology and Biotechnology Charles Darwin library (paper or online version where indicated).

Teaching materials are available on the website www.saggiolab.com section whoelse