

## **Terapia genica**

### **6CFU, Isabella Saggio**

#### **Obiettivi**

Il corso intende approfondire i principi di base della terapia genica e cellulare, con una prospettiva sia clinica che biologica. Ci si propone di indurre nello studente non solo un miglioramento delle conoscenze ma anche la capacità critica nella valutazione di dati sperimentali e clinici.

#### *Conoscenze e comprensione*

Biomedicina e vettori di terapia genica

#### *Capacità di applicare conoscenze e comprensione*

Medicina molecolare applicata

#### *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.

#### **Programma**

Il corso intende approfondire i principi di base della terapia genica e cellulare, con una prospettiva sia clinica che biologica. Si intende fornire le conoscenze relative al trasferimento genico, ai sistemi di editing del genoma (e.g. CrisprCas9), basati su mezzi di trasferimento virale e non virale, fra cui liposomi, vettori AAV, adenovirali, lentivirali, retrovirali e erpetici. Sistemi di trasferimento, direzionati e non, così come approcci di terapia basati su cellule staminali, naturali e indotte, verranno discussi in relazione a specifiche patologie, fra cui la fibrosi cistica, la distrofia muscolare, le displasie ossee, le immunodeficienze, le progerie, il cancro. Verranno infine discussi i dati preclinici in modelli animale e clinici in uomo.

Il corso prevede una parte pratica per lo sviluppo di una visione critica della ricerca applicata.

#### **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**

Per il corso sono necessarie conoscenze di base in genetica e biologia molecolare.

#### **Modalità**

Il corso prevede lezioni frontali, discussione di articoli, seminari di approfondimento e laboratori di gruppo.

### **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.

Materiale didattico del corso è disponibile sul sito elearning

## **Gene Therapy**

### **6CFU –Isabella Saggio**

#### **Objectives**

The course will focus on gene and cell therapy subjects, with both clinical and biological perspective.

Teaching aims at inducing not only knowledge improvement but also acquisition of critical view on experimental and clinical data.

#### *Knowledge and understanding*

Biomedicine and gene therapy vectors

#### *Applying knowledge and understanding*

Molecular medicine

#### *Making judgements*

Weaknesses and strengths of translational medicine

#### *Communication skills*

Team work for data discussion

#### *Lifelong learning skills*

Critical comprehension of scientific literature

#### **Programme**

The course will focus on the basic principles of gene and cell therapy, in a clinical and biological perspective. The course is aimed at providing the basic knowledge on gene transfer and gene editing (e.g. CrisprCas9) systems, based on viral and non viral vector systems, including liposome, AAV, adenoviral, lentiviral, retroviral and herpesvirus based vectors. Untargeted and targeted gene and stem cell therapy approaches for treatment of human diseases, including cystic fibrosis, muscular dystrophy, bone dysplasia, immunodeficiencies, premature aging syndromes and cancer will be analyzed. Preclinical and clinical data will be discussed. The course will include a practical section for the development of a critical view on applied research.

#### **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.

#### **Prerequisites**

Basic knowledge in genetics and molecular biology.

#### **Teaching modality**

The course will include in class teaching, in class discussion, seminars and group lab work.

## 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

Books are available at the Department of Biology and Biotechnology Charles Darwin library.

Teaching materials are available on web site elearning