

Corso di Laurea in Genetica e Biologia Molecolare

Terapia Genica

Isabella Saggio

Prerequisiti

Conoscenze di base di genetica e biologia molecolare

Obiettivi

Il corso intende approfondire i principi di base della terapia genica e cellulare, con una prospettiva sia clinica che biologica. Intende inoltre promuovere 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

Testi adottati e bibliografia di riferimento

- 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

Ulteriore materiale didattico sarà disponibile sulla piattaforma e-learning

Modalità di svolgimento

Lezioni frontali, discussione di articoli, seminari di approfondimento e laboratori di gruppo

Modalità di valutazione

La prova di esame sarà la discussione 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 con domande aperte.

Genetics and Molecular Biology Master Degree

Gene Therapy

Isabella Saggio

Prerequisites

Basic knowledge of genetics and molecular biology

Objectives

The course is focused 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 regarding 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 bone dysplasia, cystic fibrosis, muscular dystrophy, 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

Adopted texts and bibliography

- 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

Teaching material is available on elearning website

Lesson modality

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

Exam modality

The exam will be the discussion of a research project deriving from the laboratory and tutoring activities that take place during the course

For those who cannot attend, the exam will be with open questions