

**Corso di laurea in Neurobiologia**  
**Terapia genica e neuroscienze**  
**Isabella Saggio**

**Prerequisiti**

Conoscenze di base di genetica e biologia molecolare

**Obiettivi**

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

**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 malattie neurodegenerative e che colpiscono il sistema nervoso, cui la fibrosi cistica, la distrofia muscolare, 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**

I testi indicati nella lista sono alternativi

- 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 del corso è disponibile sul sito elearning

**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.

### **Neurobiology Master Degree Gene therapy and Neurosciences Isabella Saggio**

#### **Prerequisites**

Basic knowledge in genetics and molecular biology

#### **Objectives**

The course is focused on gene and cell therapy approaches, 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 neurodegenerative diseases, 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**

Books on the list below are different alternatives.

- 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.

**Communication, science and medicine module I**  
**a.a. 2022-2023**  
**Isabella Saggio 9CFU BIO/18**

**Prerequisites**

Basic knowledge of genetics and cell biology

**Objectives**

- Provide students with a basic knowledge of DNA, genetic code, chromosome theory of heredity, analysis of pedigrees and heredity of genetic diseases.
- Provide students with a basic knowledge of stem cells, genetics of cancer, genetics of taste, nutrigenomics

**Programme**

Fundamentals of genetics DNA, chromosomes, genetic code, transcription and translation  
Fundamentals of genetics - Genetic diseases  
Cancer genetics  
Telomeres and aging  
Embryonic stem cells  
Adult stem cells  
Induced stem cells  
Genetically Modified Organisms - Ter gen  
Vaccine genetics  
Genome editing  
Communication of science and medicine with the media  
Communication practice of science and medicine

**Adopted texts and bibliography**

- Hartwell et al.: GENETICA dall'analisi formale alla genomica
- Alberts and Johnson: Molecular Biology of the Cell
- Saggio L'età se esiste
- Bencivelli de Ceglia Comunicare la scienza
- Meldolesi E l'uomo creò l'uomo. CRISPR e la rivoluzione dell'editing genomico

**Lesson modality**

Lectures and writing workshops on specific topics covered in the course

**Exam modality**

- For attending students (70% lessons), STAR pieces and in-class articles with sources
- For non-attending students in the class article without sources at the scheduled exam date
- Verbalization at the scheduled exam date for all