

---

# Testi del Syllabus

---

Resp. Did. **BURATTI EMANUELE** **Matricola: 015167**

---

Docente **BURATTI EMANUELE, 3 CFU**

---

Anno offerta: **2021/2022**

Insegnamento: **990SV - RNA THERAPEUTICS**

Corso di studio: **ME02 - BIOTECNOLOGIE MEDICHE**

Anno regolamento: **2021**

CFU: **3**

Settore: **BIO/11**

Tipo Attività: **D - A scelta dello studente**

Anno corso: **1**

Periodo: **Secondo Semestre**

Sede: **TRIESTE**

---

## Testi in italiano

**Lingua insegnamento** ITALIANO

### **Contenuti (Dipl.Sup.)**

- Origine della Medicina Molecolare (spiegazione di come la Biologia Molecolare ha cambiato l'approccio Medico alla cura delle malattie).
- Introduzione al processo dell'mRNA splicing (Rassegna elementi fondamentali).
- Introduzione al processo dell'mRNA splicing (Rassegna degli elementi di regolazione accessori).
- Importanza ed utilita' del processo dell'mRNA per lo sviluppo di organismi multicellulari (diversificazione proteica, autoregolazione, evoluzione cellulare).
- Importanza di mutazioni al livello del processamento dell'RNA per lo sviluppo di malattie umane (Frequenza, importanza, conseguenze)
- Sviluppo di terapie molecolari per curare difetti a livello del processamento dell'mRNA (Oligonucleotidi antisense, molecole chimiche/naturali)
- Integrazione del processo di mRNA splicing con altri processi cellulari quali la traduzione, trascrizione, meccanismi di sorveglianza dell'mRNA.
- Il processo di Traduzione proteica e la sua connessione con patologie umane (modalita', nuovi meccanismi regolatori)

### **Testi di riferimento**

Alternative pre-mRNA splicing: Theory and Protocols  
Stamm S., Smith C.W., Lurhmann R. (Eds.) (2012)  
Wiley-VCH, Weinheim

Inoltre, il docente provvedera' a fornire una lista di articoli in rivista a corredo delle varie sezioni del programma

<b>Obiettivi formativi</b>	<p>Conoscenza e Comprensione: in generale, il corso e' finalizzato a illustrare tutte le moderne applicazioni nel campo dei trattamenti terapeutici che si basano sull'utilizzo di molecole di RNA. Nella sezione introduttiva verra' fornito una ampia rassegna dei fattori che controllano il funzionamento del processamento dell'RNA in situazioni normali e patologiche. Scopo del corso sara' quello di fornire allo studente le basi culturali su sistemi "in vitro", "in vivo", e "in silico" normalmente utilizzati per visualizzare questi processi in laboratorio. All'interno di questa sezione verranno inoltre affrontati alcuni argomenti inerenti all'importanza del processo del pre-mRNA splicing nell'evoluzione degli organismi e nell'espansione del proteoma. Nella seconda parte del corso, verra' illustrato come questi sistemi possano essere utilizzabili per lo studio di malattie basate su alterazioni di questo processo. Infine, nell'ultima parte del corso verranno descritte le piu' recenti tecniche finalizzate ad una eventuale terapia basata sulla manipolazione artificiale di questo processo.</p> <p>Capacita' di applicare conoscenza e comprensione: lo studente sara' in grado di interpretare correttamente eventuali problematiche legate al processamento dell'RNA e , se esistenti, di conoscere le tecniche piu' appropriate per la loro correzione.</p>
<b>Prerequisiti</b>	superamento degli esami previsti nelle propedeuticit� indicate nel corso di studi.
<b>Metodi didattici</b>	<p>lezioni frontali corredate da diapositive che illustrano sequenzialmente i contenuti del corso e che saranno messe a disposizione degli studenti. Strumenti a supporto della didattica: videoproiettore e computer portatile per presentazioni in PowerPoint.</p> <p>Eventuali cambiamenti alle modalit� qui descritte, che si rendessero necessari per garantire l'applicazione dei protocolli di sicurezza legati all'emergenza COVID19, saranno comunicati nel sito web di Dipartimento, del Corso di Studio e dell'insegnamento.</p>
<b>Altre informazioni</b>	<p>Emanuele Buratti Group Leader Molecular Pathology Group International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology AREA Science Park , Padriciano 99, 34149 Trieste, Italy Tel: +39-40-3757398 e-mail: buratti@icgeb.org</p> <p>Orario di Ricevimento: da Lunedì a Venerdì ore 11-13. Previa appuntamento</p>
<b>Modalit� di verifica dell'apprendimento</b>	<p>La modalit� di verifica dell'apprendimento consiste in un esame scritto volto ad accertare l'acquisizione delle conoscenze sulle alterazioni fondamentali a livello di RNA processing con i suoi correlati essenziali di terminologia medica.</p> <p>L'esame generalmente consiste in 20 brevi domande a scelta multipla (ciascuna del valore di 2 punti) e nell'esposizione in 1 pagina A4 di due argomenti inerenti i temi trattati durante le lezioni frontali (ogni domanda vale 5 punti).</p> <p>La valutazione, espressa in 30/30 (ed eventuale Lode), tiene conto del livello di conoscenza e di approfondimento degli argomenti trattati e del livello dell'esposizione.</p> <p>Eventuali cambiamenti alle modalit� qui descritte, che si rendessero necessari per garantire l'applicazione dei protocolli di sicurezza legati all'emergenza COVID19, saranno comunicati nel sito web di Dipartimento, del Corso di Studio e dell'insegnamento.</p>
<b>Programma esteso</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Origine della Medicina Molecolare (spiegazione di come la Biologia Molecolare ha cambiato l'approccio Medico alla cura delle malattie).</li> <li>• Introduzione al processo dell'mRNA splicing (Rassegna elementi fondamentali).</li> <li>• Introduzione al processo dell'mRNA splicing (Rassegna degli elementi di regolazione accessori).</li> <li>• Importanza ed utilit� del processo dell'mRNA per lo sviluppo di</li> </ul>

organismi multicellulari (diversificazione proteica, autoregolazione, evoluzione cellulare).

- Importanza di mutazioni al livello del processamento dell'RNA per lo sviluppo di malattie umane (Frequenza, importanza, conseguenze)
- Sviluppo di terapie molecolari per curare difetti a livello del processamento dell'mRNA (Oligonucleotidi antisenso, molecole chimiche/naturali)
- Integrazione del processo di mRNA splicing con altri processi cellulari quali la traduzione, trascrizione, meccanismi di sorveglianza dell'mRNA.
- Il processo di Traduzione proteica e la sua connessione con patologie umane (modalita', nuovi meccanismi regolatori)



## Testi in inglese

	Italian
	<ul style="list-style-type: none"><li>• Introduction to RNA (what it meant by this term, how it has originated, and what are the consequences in moder medicine)</li><li>• The role played by RNAs in our metabolism (pre-mRNA splicing processes, siRNAs, lncRNAs, etc.)</li><li>• Role played by RNA in normal development/metabolism (its origin, regulation, and consequences)</li><li>• Role played by RNA in disease (impact on human health)</li><li>• RNA-based therapeutic strategies to rescue aberrant splicing events (antisense oligonucleotides, small molecules, screening procedures, etc.)</li></ul>
	Alternative pre-mRNA splicing: Theory and Protocols Stamm S., Smith C.W., Lurhmann R. (Eds.) (2012) Wiley-VCH, Weinheim During the lectures up-to-date scientific lectures on the subject will also be suggested to students.
	<ul style="list-style-type: none"><li>• Introduction to the role played by RNA in our metabolism, both coding and non-coding.</li><li>• Role played by RNA misregulation in disease.</li><li>• RNA-based therapeutic strategies to rescue aberrant splicing events.</li><li>• Key examples of RNA-based methods to treat disease.</li></ul>
	any exam required according to the student's Course regulations
	Oral lectures. Support: notebook and video projector for PowerPoint presentations. Any changes these indications, which may become necessary to ensure the application of safety protocols related to the COVID19 emergency, will be communicated on the Department's and Degree Course websites and Lecture course Moodle page
	Emanuele Buratti Group Leader Molecular Pathology Group International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology AREA Science Park , Padriciano 99, 34149 Office hours: Mon-Fri 11-13 Upon appointment  Trieste, Italy Tel: +39-40-3757398 e-mail: buratti@icgeb.org

Learning levels will be verified by means of a written examination aimed at evaluating the acquisition of the issues discussed during the course. Generally, the examination will consist in 10 multiple choice questions and 2 short essays. The score will be expressed in points up to a maximum of 30/30 (plus eventual "cum laude"). The final score will reflect both the level of knowledge in the various subjects, the ability of critical evaluation, as well as the ability to communicate effectively. Any changes these indications, which may become necessary to ensure the application of safety protocols related to the COVID19 emergency, will be communicated on the Department's and Degree Course websites and Lecture course Moodle page

- Introduction to RNA (what it meant by this term, how it has originated, and what are the consequences in moder medicine)
- The role played by RNAs in our metabolism (pre-mRNA splicing processes, siRNAs, lncRNAs, etc.)
- Role played by RNA in normal development/metabolism (its origin, regulation, and consequences)
- Role played by RNA in disease (impact on human health)
- RNA-based therapeutic strategies to rescue aberrant splicing events (antisense oligonucleotides, small molecules, screening procedures, etc.)