

# Testi del Syllabus

Resp. Did. **ZACCHIGNA SERENA** **Matricola: 010504**

Docente **ZACCHIGNA SERENA, 6 CFU**

Anno offerta: **2017/2018**

Insegnamento: **604SM - TERAPIA GENICA E MEDICINA RIGENERATIVA**

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

Anno regolamento: **2016**

CFU: **6**

Settore: **BIO/11**

Tipo Attività: **B - Caratterizzante**

Anno corso: **2**

Periodo: **Primo Semestre**

Sede: **TRIESTE**



## Testi in italiano

<b>Lingua insegnamento</b>	INGLESE
<b>Contenuti (Dipl.Sup.)</b>	Nell'ambito del Corso saranno presentati gli approcci di terapia genica, terapia cellulare ed ingegneria tissutale ad oggi considerati per la terapia delle malattie umane e per la rigenerazione di organi e tessuti
<b>Testi di riferimento</b>	Gli argomenti trattati non sono adeguatamente coperti da libri di testo. Materiale appropriato (copia delle slides e review) sarà fornito a lezione.
<b>Obiettivi formativi</b>	Conoscenza e capacità di comprensione: lo studente dovrà mostrare la padronanza delle conoscenze relative alle tecnologie e agli obiettivi della terapia genica, cellulare e dell'ingegneria tissutale. Capacità di applicare conoscenza e comprensione: lo studente dovrà mostrare di aver acquisito competenze, strumenti e una consapevole autonomia di giudizio in relazione all'analisi delle procedure utilizzate nella realizzazione di sperimentazioni precliniche e cliniche che riguardano la terapie genica e la medicina rigenerativa in generale. Autonomia di giudizio: lo studente dovrà mostrare il possesso della capacità di usare le conoscenze acquisite, essendo in grado di analizzare criticamente i risultati ottenuti da queste terapie
<b>Prerequisiti</b>	Conoscenze di biologia cellulare e molecolare
<b>Metodi didattici</b>	Lezioni teoriche

## Modalità di verifica dell'apprendimento

L'accertamento del raggiungimento degli obiettivi previsti dal corso prevede un esame orale. Mediante domande riguardanti i contenuti del corso verrà accertato se lo studente ha raggiunto l'obiettivo della conoscenza e della comprensione dei contenuti.

Fase 1: quiz scritto con 15 domande (2 domande aperte e 13 a risposta multipla)

Fase 2: esame orale con verifica delle conoscenze acquisite e della capacità di giudizio.

E' necessario superare ogni singola fase dell'esame nell'ordine indicato.

## Programma esteso

Introduzione alla terapia genica e cenni storici Sperimentazioni cliniche di terapia genica Geni terapeutici Terapia genica delle cellule staminali ematopoietiche Terapia genica delle distrofie muscolari Terapia genica dell'emofilia Terapia genica delle malattie neurodegenerative Terapia genica dei tumori Terapia genica delle malattie dell'occhio Terapia genica delle malattie cardiovascolari Gene editing per la correzione dei difetti genetici. Applicazioni e considerazioni etiche

Cellule staminali: definizione e caratteristiche Cellule staminali dell'adulto. Le cellule staminali del midollo osseo. Utilizzo clinico. La medicina rigenerativa. Plasticità delle cellule staminali Considerazioni etiche, proprietà intellettuale Cellule staminali embrionali: derivazione cellule ES, plasticità, differenziamento e manipolazione genetica. Clonazione. Il programma genetico di differenziamento e' reversibile. La pecora Dolly. Clonazione di altre specie animali. Eta' biologica degli organismi clonati. Il problema dei telomeri. Clonazione umana. Considerazioni etiche. La clonazione terapeutica. Implicazioni molecolari della clonazione: epigenetica mediante modificazioni della cromatina e metilazione del DNA iPS: riprogrammazione di una cellula somatica a divenire una cellula staminali embrionale. I geni della staminalita'. Transdifferenziamento diretto Terapia cellulare delle malattie cardiovascolari Terapia cellulare delle malattie neurodegenerative Terapia cellulare del diabete Biologia molecolare dell'invecchiamento Ingegneria tissutale e rigenerazione di organi e tessuti



## Testi in inglese

English

The Course will focus on the strategies undertaken by gene therapy, cell therapy and tissue engineering to treat human diseases and to regenerate organs and tissues

The topics covered by the course are not appropriately described in any textbook. Appropriate material (copy of the slides and reviews) will be provided at the end of each lesson or even in advance

Knowledge acquisition capacity: the student will have to show acquired knowledge on the techniques and objectives of gene therapy, cell therapy and tissue engineering.

Capacity to apply knowledge: the student will have to show the acquisition of specific skills and competence in the analysis of the experimental procedures used in pre-clinical and clinical studies of gene therapy and, more in general, of regenerative medicine. Autonomous assesment: the student will have to show capacity to use the acquired knowledge to critically analyze the results obtained by these therapies.

Knowledge of cellular and molecular biology

## Frontal lessons

The achievement of the course objectives will entail an oral examination. By answering a few questions on the various topics of the course, the students will show whether they have reached the objectives in terms of knowledge and understanding on the contents.

Phase 1: written quiz with 15 questions (2 open questions and 13 multiple choice)

Phase 2: oral examination with assessment of the acquired knowledge and critical evaluation of the concepts.

Both phases have to be passed in the indicated order.

Introduction to gene therapy and history Gene therapy clinical trials, Therapeutic genes Gene therapy of hematopoietic stem cells Gene therapy of muscular dystrophies Gene therapy of hemophilia Gene therapy of neurodegeneration Cancer gene therapy Gene therapy of eye disorders Gene therapy of cardiovascular diseases Gene editing for gene correction. Applications and ethics

Stem cells: definition and features Adult stem cells. Bone marrow stem cells and clinical use. Regenerative medicine. Stem cell plasticity. Ethical considerations. Intellectual property. Embryonic stem cells: derivation, ES cell culture, plasticity, differentiation and genetic manipulation. Cloning. The developmental program is reversible. Dolly the sheep. Animal cloning. Telomeres. Human cloning. Ethical considerations. Therapeutic cloning. Epigenetics (chromatin remodeling and DNA methylation during cloning). iPS cells: the reprogramming of a somatic cell into a ES-like cell.

The stemness genes. Direct transdifferentiation. Cell therapy of cardiovascular diseases Cell therapy of neurodegenerative diseases Cell therapy of diabetes Molecular biology of aging Stem cells. Tissue engineering and organ/tissue regeneration

Cell therapy of cardiovascular diseases Cell therapy of neurodegenerative diseases Cell therapy of diabetes Molecular biology of aging Stem cells. Tissue engineering and organ/tissue regeneration

Tissue engineering and organ/tissue regeneration