

# Testi del Syllabus

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

Docente **ZACCHIGNA SERENA, 6 CFU**

Anno offerta: **2022/2023**

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

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

Anno regolamento: **2021**

CFU: **6**

Settore: **BIO/11**

Tipo Attività: **B - Caratterizzante**

Anno corso: **2**

Periodo: **Primo Semestre**

Sede: **TRIESTE**



## Testi in italiano

**Lingua insegnamento** Italiano

**Contenuti (Dipl.Sup.)**

Biologia dell'invecchiamento.  
Cellule staminali: definizione e caratteristiche  
Cellule staminali dell'adulto. Le cellule staminali del midollo osseo.  
Utilizzo clinico.  
La medicina rigenerativa. Plasticita' delle cellule staminali  
Considerazioni etiche, proprietà intellettuale

Cellule staminali embrionali: derivazione, colture di cellule ES, plasticita', 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  
Cellule staminali e ingegneria tissutale

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

## Testi di riferimento

Giacca - Terapia Genica. Springer Verlag Italia

Watson, Biologia molecolare del gene

Materiale aggiuntivo fornito a lezione

## Obiettivi formativi

Conoscenza e capacità di comprensione: lo studente dovrà mostrare la padronanza delle conoscenze relative alle tecnologie e agli obiettivi della terapia genica, della terapia cellulare e dell'ingegneria tissutale, nonché lo stato dell'arte della sperimentazione clinica.

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 pre-cliniche e cliniche di terapia genica e cellulare.

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.

Abilità comunicative: lo studente sarà stimolato ad acquisire padronanza di linguaggio della materia e di esporre in maniera corretta i concetti tecnici e scientifici che verranno trattati.

Capacità di apprendimento: lo studente dovrà dimostrare di saper reperire autonomamente informazioni inerenti la medicina rigenerativa attraverso la consultazione di pubblicazioni scientifiche. Il docente incentiverà tale capacità attraverso la discussione guidata di lavori scientifici di recente pubblicazione

## Prerequisiti

Conoscenze di biologia cellulare e molecolare

## Metodi didattici

Lezioni teoriche. Eventuali cambiamenti alle modalità 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.

## Modalità di verifica dell'apprendimento

Agli studenti verrà consegnato un questionario con domande aperte per valutare le informazioni apprese e la capacità critica nei confronti delle sperimentazioni cliniche delle discipline in questione.

Verranno effettuate delle prove in itinere per verificare le competenze acquisite durante il corso. Eventuali cambiamenti alle modalità 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.

## Programma esteso

Biologia dell'invecchiamento.

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, colture di cellule ES, plasticità, differenziamento e manipolazione genetica.

Clonazione. Il programma genetico di differenziamento è reversibile. La pecora Dolly. Clonazione di altre specie animali. Età 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 staminalità. Transdifferenziamento

diretto  
 Terapia cellulare delle malattie cardiovascolari  
 Terapia cellulare delle malattie neurodegenerative  
 Terapia cellulare del diabete  
 Biologia molecolare dell'invecchiamento  
 Cellule staminali e ingegneria tissutale  
  
 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

**Obiettivi Agenda 2030 per lo sviluppo sostenibile**

Questo insegnamento approfondisce argomenti strettamente connessi a uno o più obiettivi dell'Agenda 2030 per lo Sviluppo Sostenibile delle Nazioni Unite.

**Obiettivi per lo sviluppo sostenibile**

Codice	Descrizione
2	Fame zero
3	Salute e benessere
5	Uguaglianza di genere
9	Industria, innovazione e infrastrutture
17	Partnership per gli obiettivi



**Testi in inglese**

	Italian
	<p>             Molecular Biology of Aging.              Stem cells: definition and features              Adult stem cells. Bone marrow stem cells and clinical use.              Regenerative medicine. Stem cell plasticity.              Ethical considerations. Intellectual property.           </p> <p>             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 and tissue engineering           </p> <p>Introduction to gene therapy and history</p>

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

Giacca - Terapia Genica. Springer

Watson, Molecular Biology of the gene

Additional material distributed during lessons

Knowledge and understanding: the student will have to show acquired knowledge on the techniques and objectives of gene therapy, cell therapy and tissue engineering, as well as on the state-of-the-art of existing clinical trials.

Applying knowledge and understanding: 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 and cell therapy.

Making judgements: the student will have to show capacity to use the acquired knowledge to critically analyze the results obtained by these therapies.

Communication skills: the student will be stimulated to acquire a proper language and to expose technical and scientific concepts in a professional manner.

Learning skills: the student will have to show the ability to retrieve information on regenerative medicine in an independent manner through the access to scientific publication. This capacity will be fostered by the leaded discussion of papers recently published in the literature.

Knowledge of cellular and molecular biology

Theoretical lessons. 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.

Students will have to fill a questionnaire aimed at evaluating the acquired knowledge and the capacity to critically analyze the results of clinical trials.

Ongoing evaluation sessions will allow assessing the competences and knowledge acquired during the course. 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.

Molecular Biology of Aging.

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 and tissue engineering

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

This course touch on topics closely connected with one or more goals included in the UN Agenda 2030 for Sustainable Development.

## Obiettivi per lo sviluppo sostenibile

Codice	Descrizione
2	Zero hunger
3	Good health and well-being
5	Gender equality
9	Industries, innovation and infrastructure
17	Partnership for the goals