

# Testi del Syllabus

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

Docente **ZACCHIGNA SERENA, 6 CFU**

Anno offerta: **2018/2019**

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

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

Anno regolamento: **2017**

CFU: **6**

Settore: **BIO/11**

Tipo Attività: **B - Caratterizzante**

Anno corso: **2**

Periodo: **Primo Semestre**



## Testi in italiano

<b>Lingua insegnamento</b>	Italiano
<b>Contenuti (Dipl.Sup.)</b>	Biologia dell'invecchiamento e malattie degenerative. Obiettivi e metodologie della terapia genica. Obiettivi e metodologie della terapia cellulare e dell'ingegneria tissutale. Applicazioni cliniche.
<b>Testi di riferimento</b>	Giacca - Terapia Genica. Springer Verlag Italia Materiale aggiuntivo fornito a lezione
<b>Obiettivi formativi</b>	<p>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.</p> <p>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.</p> <p>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.</p> <p>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.</p> <p>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</p>

<b>Prerequisiti</b>	Conoscenze di biologia cellulare e molecolare
<b>Metodi didattici</b>	Lezioni teoriche
<b>Modalità di verifica dell'apprendimento</b>	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
<b>Programma esteso</b>	<p>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</p> <p>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</p> <p>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</p>



## Testi in inglese

	Italian
	<p>Aging and degenerative diseases.            Aims and methods of gene therapy.            Aims and methods of cell therapy and tissue engineering.            Clinical applications.</p>
	<p>Giacca - Terapia Genica. Springer</p> <p>Additional material distributed during lessons</p>

Knowledge acquisition capacity: 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.

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 and cell therapy.

Autonomous assessment: 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 capacity: 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

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

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