



# UNIVERSITÀ DI PISA

---

## BASI MOLECOLARI DELL'ATTIVITÀ DEI FARMACI BIOTECNOLOGICI

**SIMONA DANIELE**

Academic year 2020/21  
Course FARMACIA  
Code 451EE  
Credits 6

Modules	Area	Type	Hours	Teacher(s)
BASI MOLECOLARI DELL'ATTIVITÀ DEI FARMACI BIOTECNOLOGICI	BIO/11	LEZIONI	42	SIMONA DANIELE

### Obiettivi di apprendimento

#### *Conoscenze*

Al termine del corso lo studente dovrà essere edotto circa: a) principi di applicazione, metodologie e requisiti tecnici per la preparazione di prodotti per terapia cellulare, proteica e genica; b) caratteristiche biologiche, morfologiche, genetiche e funzionali dei tipi cellulari e dei vettori virali impiegati in terapie avanzate; c) vantaggi, svantaggi, rischi delle applicazioni terapeutiche cellulari, proteiche e geniche ad oggi in essere, anche in rapporto alle terapie di riferimento; d) cenni alle norme generali per la regolamentazione della definizione, produzione ed uso dei prodotti per le terapie avanzate.

#### *Modalità di verifica delle conoscenze*

La verifica delle conoscenze verrà effettuata tramite prove in itinere e attraverso la prova di esame finale. Inoltre il docente verificherà l'apprendimento degli obiettivi intermedi durante lo svolgimento del Corso attraverso un dialogo diretto con gli studenti sugli argomenti trattati a lezione.

#### *Capacità*

Lo studente acquisirà le capacità di comprendere criticamente i principali argomenti di base della biologia molecolare, e in particolare come essi abbiano trovato applicazione nel contesto delle terapie innovative. Ci si attende che lo studente possa valutare comparativamente scelte terapeutiche differenti (farmacologiche tradizionali o avanzate) rispetto ad una specifica condizione patologica, supportando criticamente le proprie osservazioni.

#### *Modalità di verifica delle capacità*

Durante le lezioni sarà valutata la capacità degli studenti di acquisire criticamente le nozioni esposte dal docente invitandoli anche a rispondere a domande dirette o eventualmente a test a risposte multiple inerenti gli argomenti trattati nel corso.

#### *Comportamenti*

Lo studente dovrà partecipare alle lezioni frontali in modo attivo con osservazioni e domande.

#### *Modalità di verifica dei comportamenti*

Durante le lezioni sarà valutata la capacità degli studenti di acquisire criticamente le nozioni esposte dal docente. Durante il corso agli studenti verrà anche proposto di effettuare la presentazione in aula di una revisione critica di un articolo tratto da una rivista del settore; tale presentazione è facoltativa, ma può contribuire alla valutazione complessiva dello studente. Gli articoli verranno proposti dal docente ed assegnati durante la seconda metà del modulo.

#### **Prerequisiti (conoscenze iniziali)**

Conoscenze di biologia animale.

#### **Corequisiti**

Conoscenze di Biochimica.

#### **Indicazioni metodologiche**



## UNIVERSITÀ DI PISA

Si consiglia allo studente di elaborare e apprendere gradualmente i concetti esposti a lezione durante lo svolgimento delle lezioni nell'arco del semestre, usufruendo sia del materiale didattico elettronico fornito dal docente che attraverso la consultazione dei libri di testo consigliati.

### Programma (contenuti dell'insegnamento)

#### PARTE GENERALE:

Ricapitolazione e approfondimento della struttura del genoma: il DNA, la cromatina e i cromosomi, le modificazioni epigenetiche. Mutazioni e polimorfismi. Farmaci biologici e prodotti diagnostici: caratteristiche generali.

#### BASI MOLECOLARI DELLA Terapia "proteica":

Tecnologia del DNA ricombinante: dai primi esperimenti di clonazione del DNA alla produzione su larga scala di prodotti biotecnologici.

Produzione delle principali proteine a uso terapeutico e ed esempi applicativi.

Vaccini ricombinanti: vaccini vivi ed attenuati, vaccini vettore, vaccini a subunità, vaccini glicoconiugati.

#### BASI MOLECOLARI DELLA TERAPIA CELLULARE:

Introduzione alla produzione, conservazione e dispensazione di cellule staminali embrionali, cellule staminali fetali e isolate dagli annessi embrionali (cordone ombelicale, placenta, sacco amniotico), cellule staminali adulte, cellule staminali pluripotenti indotte (iPSCs).

Esempi di terapie cellulari staminali: trapianto di cellule staminali emopoietiche; terapia cellulare del tessuto vascolare; terapia cellulare in ortopedia, terapia cellulare del miocardio.

### Bibliografia e materiale didattico

Il docente fornirà agli studenti durante il corso il materiale elettronico utilizzato a lezione (pacchetto di slides) che lo studente dovrà utilizzare per focalizzare e selezionare gli argomenti di studio.

Per la preparazione all'esame si consigliano i seguenti libri di testo:

- Vegeto, Maggi et al., Farmaci Biotecnologici, CEA, Zanichelli Eds.
- J.D. Watson, et al.: "DNA Ricombinante"; Zanichelli Eds.
- Zinno; "Principi di terapia cellulare"; e-book; Amazon.it
- Giacca; "Terapia Genica"; Springer Biomed Eds., 2011
- A.J. Dunn; "Elementi di virologia molecolare"; CEA Eds.

### Indicazioni per non frequentanti

Per gli studenti non frequentanti si consiglia di consultare il registro delle lezioni reperibile sul sito unimap al fine di selezionare gli argomenti trattati a lezione. Le slides potranno essere recuperate sul portale Moodle.

### Modalità d'esame

L'esame finale è costituito da una prova "in itinere". Per gli studenti che abbiano sostenuto positivamente tale prova, l'esame di profitto sarà costituito da una prova orale condotta dalla commissione sulla base dei risultati ottenuti. Altrimenti l'esame sarà svolto come prova orale nelle date di esame prestabilite.

Ultimo aggiornamento 22/05/2021 15:26