UNIVERSITÀ DI PISA

BASI MOLECOLARI DELLE TERAPIE GENICHE E CELLULARI INNOVATIVE

SIMONA DANIELE

Anno accademico	2022/23
CdS	FARMACIA
Codice	529EE
CFU	3

Moduli	Settore/i	Tipo	Ore	Docente/i
BASI MOLECOLARI DELLE TERAPIE GENICHE E CELLULARI INNOVATIVE	BIO/11	LEZIONI	29	SIMONA DANIELE LAURA MARCHETTI

Obiettivi di apprendimento

Conoscenze
Al termine del corso lo studente dovrà aver appreso i principi di applicazione, metodologie e requisiti tecnici per la preparazione di prodotti a base di oligonucleotidi, per la terapia cellulare e genica. Lo studente dovrà acquisire anche conoscenze relative a vantaggi, svantaggi, rischi delle applicazioni terapeutiche geniche in via di sperimentazione.

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 geniche e cellulari innovative, nonhè di combinazioni di esse. 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 capacita' degli studenti di acquisire criticamente le nozioni esposte dal docente. Durante il corso agli studenti potrà essere 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 molecolare, biochimica cellulare e molecolare.

Indicazioni metodologiche
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)
Introduzione alla terapia genica e all'utilizzo degli acidi nucleici a scopi terapeutici.
Gli oligonucleotidi come agenti terapeutici: meccanismo molecolare di oligonucleotidi antisenso a DNA e RNA, RNA interfering, ribozimi,

oligonucleotidi antigène, aptameri, oligonucleotidi decoy di fattori di trascrizione
Applicazioni terapeutiche degli oligonucleotidi: RNA interfering nelle infezioni virali respiratorie, incluse quelle da SARSCoV2, e nelle patologie degenerative.
Approcci di “genome editing”: la tecnica CRISP-Cas
La terapia genica in vivo e ex vivo. Cinical trials basati sull’attuale terapia genica.
Le terapie cellulari innovative: esempi dalla letteratura recente.
Esempi di combinazioni di terapia genica e cellulare.

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:
Zinno; “Principi di terapia cellulare”; e-book
Giacca; “Terapia Genica”; Springer Biomed Eds., 2011
A.J. Dunn; “Elementi di virologia molecolare”; CEA Eds.
Alberts,et al; “Biologia molecolare della cellula”; Zanichelli Eds.
J.D. Watson, et al.: “DNA Ricombinante”; Zanichelli 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.
https://moodle.farm.unipi.it/enrol/index.php?id=303

Modalità d'esame

L’esame finale è costituito da una prova “in itinere” svolta alla fine del corso. 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.

Altri riferimenti web

Il dettaglio delle lezioni tenute può essere consultato sul Registro delle Lezioni di Unimap.
https://unimap.unipi.it/registri/registri.php?ri=013753&tmplt=principale.tpl&aa=2020

Ultimo aggiornamento 02/08/2022 12:58