



# UNIVERSITÀ DI PISA

---

## BASI MOLECOLARI DELLE TERAPIE GENICHE E CELLULARI INNOVATIVE

**SIMONA DANIELE**

Academic year	2023/24
Course	FARMACIA
Code	529EE
Credits	3

Modules	Area	Type	Hours	Teacher(s)
BASI MOLECOLARI DELLE TERAPIE GENICHE E CELLULARI INNOVATIVE	BIO/11	LEZIONI	29	SIMONA DANIELE

### 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, nonché 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*

Ogni studente è responsabile del rispetto dei più alti standard di integrità accademica. Lo studente potrà 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 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 le lezioni.

#### *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)*



## UNIVERSITÀ DI PISA

---

- Introduzione alla terapia genica e all'utilizzo degli acidi nucleici a scopi terapeutici.
- Gli oligonucleotidi come agenti terapeutici: meccanismo molecolare di oligonucleotidi antisense a DNA e RNA, RNA interfering, ribozimi, oligonucleotidi antigene, aptameri, oligonucleotidi decoy di fattori di trascrizione. Gli oligonucleotidi di seconda generazione.
- Applicazioni terapeutiche degli oligonucleotidi. Meccanismi molecolari alla base di patologie genetiche e funzionamento delle sonde a oligonucleotidi.
- La terapia genica in vivo e ex vivo. Metodi per la somministrazione del prodotto genico: metodi fisici, metodi chimici e vettori virali. Sperimentazioni cliniche di terapia genica e terapie in uso nel trattamento di patologie genetiche.
- Principi della terapia CAR-T. Applicazioni della terapia CAR-T nella terapia ex vivo dei tumori. Applicazioni dell'approccio con CAR-T in ambito non oncologico.
- Editing genomico: l'approccio CRISP-Cas: meccanismo molecolare della tecnologia e applicazioni cliniche della tecnologia.
- Terapia genica delle cellule staminali ematopoietiche e cellule staminali neurali: caratteristiche, potenziale di utilizzo nel trattamento di malattie neurodegenerative, strategie di ingegneria genetica per migliorarne il potenziale terapeutico.
- Esempi di combinazioni di terapia genica e cellulare.
- Laboratorio di simulazione di terapia genica: trasfezione di un plasmide per l'overspressione di Apolipoproteina E e del reporter GFP in cellule di astrocitoma umano

### 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 prestabilitate.

### 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&tmpl=principale.tpl&aa=2020>

Ultimo aggiornamento 12/09/2023 15:39