

# UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DI MILANO-BICOCCA

# SYLLABUS DEL CORSO

# **Cellular and Gene Therapy**

2021-2-F0901D048-F0901D081M

#### Obiettivi

- 1. Biologia delle cellule staminali; il trapianto di cellule staminali emopoietiche: il miglior successo di terapia cellulare. Te cardiovascolare, ossea etc.)
- 2. La terapia cellulare in oncologia e nel trattamento delle infezioni in pazienti immunodepressi; le cellule T regolatorie: dalla cliniche.
- 3. Anticorpi monoclonali: da Koehler & Milstein ad oggi: la storia di un successo nel campo della terapia molecolare.
- 4. Introduzione alla terapia genica; vettori virali e non-virali; problemi e successi della terapia genica.
- 5. Il concetto di produzione in condizioni"GMP": come un prodotto di terapia cellulare o genica diviene un farmaco

## Contenuti sintetici

Il Corso si propone di fornire agli Studenti una revisione di argomenti selezionati inerenti alle più rilevanti applicazioni biotecnologiche di terapie innovative. I due principali filoni sono costituiti dal trattamento molecolare, e lo sviluppo di terapia con cellule somatiche e/o geneticamente modificate. La prima parte presenterà gli aspetti dello sviluppo pre-clinico di un prodotto di terapia cellulare con cellule somatiche e/o geneticamanet modificate . Verranno illustrati esempi di applicazioni nei campi oncologici, nel trattamento delle infezioni in pazienti immunodepressi e nel campo della rigenerazione tissutale. Particolare attenzione verrà data all'illustrazione delle

procedure e problematiche relative alla produzione in condizione di "Good-Manufacturing practice-GMP". La seconda parte coprirà lo sviluppo di un farmaco diretto contro un bersaglio molecolare patogeneticamente rilevante, dalla sua identificazione mediante le più avanzate tecnologie di array e di screening, la sintesi di molecole in grado di interferire funzionalmente con esso e la sua validazione in sistemi in vitro e in modelli preclinici nelle malattie oncologiche. Verranno presentati esempi significativi di applicazioni nel campo delle Malattie cardiovascolari, tumorali e neurologiche.

#### Programma esteso

Nuove prospettive terapeutiche nell'uso delle cellule staminali

Terapie cellulari nella terapia antitumorale

Terapie cellulari ed immunoregolazione

Terapie cellulari anti-infettive nel paziente immunodepresso

Vettori non virali per la terapia genica

I trasposoni, nuove metodiche di manipolazione genica

Vettori virali per la terapia genica

Cellule staminali: un'introduzione

iPS e cellule embrionali staminali: alternative o complementari?

Gene and cell therapy for MPS-I: from pre-clinical modelling to patient.

Cellule staminali e cuore: what is next?

La terapia genica nelle patologie non oncologiche

La terapia genica nelle patologie oncologiche

Cellule staminali mesenchimali nella riparazione dei tessuti osteo-articolari.

Anticorpi monoclonali in terapia: da Koehler & Milstein alla clinica: un percorso istruttivo.

#### Prerequisiti

Conoscenze di base in patologia ed immunologia ed avanzate in biochimica, biologia molecolare e genetica

### Modalità didattica

Nel periodo di emergenza Covid-19 le lezioni si svolgeranno in modalità mista: parziale presenza e lezioni videoregistrate asincrone/sincrone con alcuni eventi in presenza fisica.
Materiale didattico
Su ogni argomento verranno indicate a lezione revisioni aggiornate su cui orientare lo studio
Periodo di erogazione dell'insegnamento
Primo semestre
Modalità di verifica del profitto e valutazione
Esame orale con la presentazione di un articolo scientifico
Orario di ricevimento
Fissare appuntamento via email