UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI DI MILANO-BICOCCA

COURSE SYLLABUS

Cellular and Gene Therapy

2324-2-F0901D048-F0901D081M

Obiettivi

1. Biologia delle cellule staminali; il trapianto di cellule staminali emopoietiche: il miglior successo di terapia cellulare. Terapia cellulare e medicina rigenerativa (cardiovascolare , ossea etc.).

2. La terapia cellulare in oncologia e nel trattamento delle infezioni in pazienti immunodepressi; le cellule T regolatorie: dalla loro scoperta alle potenziali applicazioni 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 (es. cellule CAR-T) 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 (cellule CAR-T), 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 di patologia ed immunologia. Conoscenze avanzate di biochimica, biologia molecolare e genetica.

Modalità didattica

Lezioni in presenza, salvo diverse disposizioni ministeriali legate ad una eventuale emergenza COVID.

Materiale didattico

Su ogni argomento verranno indicate a lezione revisioni aggiornate su cui orientare lo studio.
Sulla pagina del corso verranno caricate alcune pubblicazioni inerenti e le diapositive (in formato PDF) delle lezioni.

Periodo di erogazione dell'insegnamento

Primo semestre.

Modalità di verifica del profitto e valutazione

Prova scritta: 1 domanda a risposta aperta.
Colloquio finale (in lingua Inglese) con la presentazione di un articolo scientifico

Orario di ricevimento

Fissare un appuntamento con il docente via email.

Sustainable Development Goals

SALUTE E BENESSERE