

# UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DI MILANO-BICOCCA

# **COURSE SYLLABUS**

# **Genetic Disease Therapies**

2324-1-F0601Q116-F0601Q120M

#### Obiettivi

#### Obiettivi comuni

Il corso avrà una struttura multidisciplinare e modulare che fornisce una panoramica completa degli aspetti genetici, molecolari, biochimici, fisiologici e farmacologici nello studio delle malattie umane. Il focus tematico del corso sarà lo studio, da diverse prospettive, di una patologia genetica, dalla diagnosi alla terapia. In particolare, alla fine del corso lo studente avrà acquisito le seguenti capacità:

- 1. conoscenza e capacità di comprensione: avere una visione integrata dei diversi approcci per lo studio di una determinata malattia genetica umana
- 2. conoscenza e capacità di comprensione applicate: applicare quanto appreso e traslare le informazioni allo studio delle numerose patologie genetiche umane
- 3. autonomia di giudizio: essere in grado di valutare quanto appreso con grande senso critico
- 4. abilità comunicative: comunicare in modo esaustivo con una corretta terminologia scientifica quanto appreso
- 5. capacità di apprendere: apprendere con senso critico la letteratura scientifica riguardante i diversi aspetti della patologia.

Nell'a.a. 2022-2023 la patologia genetica umana presa in considerazione sotto i diversi aspetti è la FIBROSI CISTICA.

#### Obiettivi specifici

In merito al modulo di farmacologia (1 CFU), lo studente avrà modo di approfondire le opzioni terapeutiche attuali ed in sviluppo: dai farmaci definiti 'correttori' e 'potenziatori' molecolari, agli approcci più recenti di terapia genica e cellulare. Ullteriore obiettivo sarà la revisione dei modelli utilizzati attualmente per lo screening delle nuove terapie e la loro predittività.

#### Contenuti sintetici

IL corso è articolato in lezioni frontali, lavori di gruppo e presentazioni degli studenti riguardanti l'aspetto delle nuove frontiere nella farmacologia della Fibrosi Cistica

# Programma esteso

Il corso tratterà i seguenti aspetti farmacologici:

- farmaci correttori e potenziatori molecolari
- terapia genica (ODN, gene replacement, gene editing)
- terapia cellulare (cellule staminali)
- modelli per lo screening farmacologico (organoidi, topi ko)

# **Prerequisiti**

Conoscenze di base di farmacologia generale

#### Modalità didattica

Lezioni frontali, lavori di gruppo, presentazioni e discussione di articoli scientifici

### **Materiale didattico**

Diapositive del corso disponibili sulla piattaforma e-learning

# Periodo di erogazione dell'insegnamento

Secondo semestre

# Modalità di verifica del profitto e valutazione

Esame scritto.

L'esame del modulo di farmacologia è parte integrante dell'esame generale del corso che consta nella verifica dell'apprendimento degli argomenti trattati in tutti i moduli del corso. La prova scritta è articolata in

- 1. 30 domande a risposta multipla riguardanti gli argomenti trattati nei diversi moduli del corso per un tempo massimo di 30 minuti,
- 2. 1 domanda aperta da svolgere in un tempo massimo di 15 minuti su uno degli argomenti trattati nei vari moduli.

L'accesso alla domanda aperta sarà concesso solo se superata con sufficienza la prima parte dell'esame (domande a risposta multipla). L'esame sarà svolto con l'ausilio della piattaforma esamionline.

### Orario di ricevimento

Per appuntamento da concordare via mail con il docente

# **Sustainable Development Goals**

SALUTE E BENESSERE