UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI DI MILANO-BICOCCA

COURSE SYLLABUS

Cellular and Gene Therapy

2425-3-H4101D398

Obiettivi

Il corso si propone di introdurre il concetto di "terapie avanzate" o “ATMPs” (Advanced Therapy Medicinal Products), a partire dalle basi molecolari che caratterizzano la terapia cellulare e genica fino al loro impiego in applicazioni cliniche. Gli ATMPs sono medicinali biologici ottenuti dalla lavorazione/manipolazione di geni, tessuti o cellule. Data la loro natura rientrano nella branca della medicina personalizzata, proprio perché questi farmaci sono “costruiti” sulla storia clinica dei singoli pazienti. Il corso sarà focalizzato sui fondamenti biologici di staminalità, pluripotenza, plasticità ed inducibilità delle cellule e le caratteristiche morfologiche, genetiche e di impiego dei vettori virali e di recenti tecniche di genome editing.
Scopo del corso è introdurre agli studenti le potenzialità applicative delle innovazioni biotecnologiche e mediche, avvicinandoli ad un settore ancora considerabile come di “frontiera”. Ci si prefigge anche di evidenziare il nuovo concetto di farmaco e di terapia che deriva dagli approcci di terapia cellulare e genica messi in atto negli ultimi due decenni, sia in senso positivo che negativo. Inoltre, si intende stimolare ad un senso critico verso gli aspetti normativi e legislativi che regolamentano questo settore.

Contenuti sintetici

Il corso propone agli studenti una serie di lezioni in cui apprendere i principali approcci di terapia cellulare e genica, focalizzandosi su terapie traslazionali innovative che dal bancone di laboratorio sono divenute un realtà clinica. Verranno illustrati aspetti inerenti lo sviluppo preclinico di un prodotto di terapia cellulare con cellule staminali (isolate da midollo osseo o da sangue cordonale) e di terapia genica a base di cellule-farmaco ingegnerizzate in modo da essere direzionate contro un bersaglio molecolare patogeneticamente rilevante (cellule CAR-T). Verranno illustrati esempi di applicazioni cliniche di questi approcci in campo oncologico e delle malattie genetiche rare, focalizzandosi anche sulle procedure relative alla produzione di questi prodotti cellulari.

Programma esteso

Il programma prevede di condurre lo studente a:
a) apprendere metodologie, requisiti tecnici e principi di applicazione clinica per la preparazione di prodotti di terapia cellulare e genica;
b) apprendere le caratteristiche biologiche, morfologiche e funzionali dei tipi cellulari (in particolare, cellule staminali e linfociti T derivati da diverse risorse biologiche, come midollo osseo, sangue periferico, sangue cordonale) e dei vettori virali impiegati in terapie avanzate;
c) comparare criticamente vantaggi, svantaggi, rischi delle applicazioni terapeutiche cellulari e geniche, anche in rapporto alle terapie di riferimento;
d) conoscere le norme generali per la regolamentazione della definizione, produzione ed uso dei prodotti per le terapie avanzate.

Prerequisiti

Ai fini della completa comprensione degli argomenti trattati nel corso sono da considerarsi particolarmente utili - ancorchè non mandatorie - conoscenze di base di biologia cellulare, patologia, immunologia e fisiologia.

Modalità didattica

3 lezioni da 2 ore svolte in modalità erogativa in presenza durante le quali la materia è svolta mediante presentazioni tipo PowerPoint.
1 lezione da 2 ore svolta in modalità interattiva in laboratorio in presenza, dove verranno spiegate le principali tecnologie utilizzate nella produzione di ATMPs.

Materiale didattico

Per ogni argomento trattato verranno indicati a lezione degli articoli su rivista scientifica da poter consultare. Sulla pagina del corso verranno caricate alcune pubblicazioni inerenti e le diapositive (in fomato PDF) delle lezioni trattate.

Periodo di erogazione dell'insegnamento

Secondo semestre

Modalità di verifica del profitto e valutazione

Frequenza del corso

Orario di ricevimento

Fissare un appuntamento con il docente via email (marta.serafini@unimib.it)

Sustainable Development Goals

SALUTE E BENESSERE