

- **Informazioni Corso**

Corso a Scelta di Terapia Genica, 3 CFU, III anno II semestre, anno accademico 2023-2024

- **Informazioni Docente**

Rocco Savino, Professore Ordinario di Biologia Molecolare, Tel 0961/3694080,

e.mail savino@unicz.it

Ricevimento: martedì e giovedì ore 10:00 - 12:00.

- **Descrizione del Corso**

Lo scopo del corso è quello di far conoscere ai discenti quali sono le patologie trattabili con un approccio di terapia genica, quali sono le principali metodologie di trasferimento genico a scopo terapeutico e quali sono i protocolli di terapia genica già approvati o in fase di approvazione per il trattamento delle rispettive patologie.

Obiettivi del Corso e Risultati di apprendimento attesi

Alla fine del corso gli studenti dovranno conoscere le principali metodiche di trasferimento genico ed essere in grado di identificare il vettore di terapia genica più adatto in funzione della patologia da trattare, in funzione delle caratteristiche dei vettori che sono stati già approvati o sono in fase di approvazione come farmaci.

Programma

- **Patologie trattabili con la terapia genica. Caratteristiche del vettore ideale di terapia genica**

- **Strategia generale per la costruzione di un vettore virale**

- o vettori retrovirali
- o vettori lentivirali
- o vettori adenovirali
- o vettori AAV
- o vettori HSV

- **Elettro Gene Transfer (EGT)**

- **Trias clinici rilevanti e farmaci approvati**

- o trial U. Penn Adeno OCT
- o trial X-SCID
- o trial ADA-SCID: STRIMVELIS
- o trial Beta Talassemia



- o CAR T therapy: TISAGENLECLEUCEL
- o trials AAV-FIX
- o Leber's Congenital Amaurosis (LCA): voretigene neparvovec - LUXTURNA
- o Spinal Muscle Atrophy (SMA): nusinersen – SPINRAZA; ZOLGENSMA
- o Batten's disease: milasen

Stima dell'impegno orario richiesto per lo studio individuale del programma

51 ore

Metodi Insegnamento utilizzati

Lezioni frontali

Risorse per l'apprendimento

Libri di testo

Melino e Ciliberto: Argomenti di Biologia Molecolare, Società Editrice Universo

Mauro Giacca: Terapia Genica. Springer. ISBN: 978-88-470-1988-1

Ulteriori letture consigliate per approfondimento

Reena Goswami, Gayatri Subramanian, Liliya Silayeva, Isabelle Newkirk, Deborah Doctor, Karan Chawla, Saurabh Chajopadhyay, Dhyan Chandra, Nageswararao Chilukuri, Venkaiah Betapudi (2019). Gene therapy leaves a vicious cycle . Front. Oncol. 9:00297. doi: 10.3389/fonc.2019.00297. Scaricabile gratuitamente al link: http://journal.frontiersin.org/article/10.3389/fonc.2019.00297/full?utm_source=Email_to_rerev_&utm_medium=Email&utm_content=T1_11.5e4_reviewer&utm_campaign=Email_publication&journalName=Frontiers_in_Oncology&id=447742

Rosenbaum L. Tragedy, Perseverance, and Chance - The Story of CAR-T Therapy. N Engl J Med. 2017 Oct 5;377(14):1313-1315

Russell S, Bennett J, et al. Efficacy and safety of voretigene neparvovec (AAV2-hRPE65v2) in patients with RPE65-mediated inherited retinal dystrophy: a randomised, controlled, open-label, phase 3 trial. Lancet. 2017 Aug 26;390(10097):849-860. doi: 10.1016/S0140-6736(17)31868-8



Piero Lovino

Altro materiale didattico

Diapositive usate per le lezioni frontali

Modalità di frequenza

Le modalità sono indicate dall'art.8 del Regolamento didattico d'Ateneo.

Modalità di accertamento

Le modalità generali sono indicate nel regolamento didattico di Ateneo all'art.22 consultabile al link [http://www.unicz.it/pdf/regolamento didattico ateneo dr681.pdf](http://www.unicz.it/pdf/regolamento%20didattico%20ateneo%20dr681.pdf)

L'esame finale sarà svolto in forma orale.

I criteri sulla base dei quali sarà giudicato lo studente sono:

	Conoscenza e comprensione argomento	Capacità di analisi e sintesi	Utilizzo di referenze
Non idoneo	Importanti carenze. Significative inaccurately	Irrilevanti. Frequenti generalizzazioni. Incapacità di sintesi	Completamente inappropriato
18-20	A livello soglia. Imperfezioni evidenti	Capacità appena sufficienti	Appena appropriato
21-23	Conoscenza routinaria	E' in grado di analisi e sintesi corrette. Argomenta in modo logico e coerente	Utilizza le referenze standard
24-26	Conoscenza buona	Ha capacità di a. e s. buone gli argomenti sono espressi coerentemente	Utilizza le referenze standard
27-29	Conoscenza più che buona	Ha notevoli capacità di a. e s.	Ha approfondito gli argomenti
30-30L	Conoscenza ottima	Ha notevoli capacità di a. e s.	Importanti approfondimenti


