



Dipartimento di Scienze Mediche, corso ADE
Anno Accademico 2017/2018

Corso di Terapia Genica e Cellulare

Dr. Serena Zacchigna
Prof. Mauro Giacca

27 e 28 Febbraio, ore 14-18

1 e 2 Marzo, ore 14-18

Ospedale di Cattinara, Area Didattica, Aula A

Nella prima parte del Corso saranno presentati gli obiettivi e le metodologie della terapia genica, nonché le applicazioni cliniche già realizzate o attualmente perseguite. Verranno analizzati i diversi tipi di acidi nucleici con funzione terapeutica (sequenze di DNA codificante per proteine ed acidi nucleici non codificanti, quali oligonucleotidi, siRNA ed aptameri) e le diverse metodologie per il trasferimento genico (metodi fisici e chimici; vettori virali basati su oncoretrovirus, lentivirus, adenovirus ed AAV). Saranno presentate e discusse le reali possibilità di transizione della terapia genica dalla ricerca sperimentale alla clinica, definendo alcuni tipi di patologia umana in cui la terapia genica appare al momento particolarmente promettente. In particolare, verranno considerate le applicazioni di terapia genica per diverse categorie di malattie ereditarie (malattie della cellula staminale ematopoietiche, fibrosi cistica, emofilia, distrofia muscolare, emofilia), per le malattie cardiovascolari (restenosi, cardiopatia ischemica e scompenso cardiaco), per le malattie neurodegenerative (morbo di Parkinson, morbo di Alzheimer, ALS, corea di Huntington), per i tumori e per le degenerazioni della retina (amaurosi congenita, degenerazione maculare senile). Per tutte queste patologie saranno presentati ed analizzati in maniera critica i principali studi sperimentali e clinici recentemente realizzati. Infine saranno descritte e discusse le tecniche e le applicazioni dell'editing genetico.

La seconda parte del Corso intende fornire una visione complessiva della biologia delle cellule staminali e delle prospettive terapeutiche della medicina rigenerativa. Verranno definite le proprietà biologiche delle diverse popolazioni di cellule staminali, con particolare riferimento alle cellule staminali embrionali, a quelle del cordone ombelicale, a quelle dell'adulto, nonché al processo della clonazione animale e dell'ottenimento della staminalità mediante trasferimento genico (cellule iPS). Saranno discussi in maniera critica i principali approcci di terapia cellulare ad oggi proposti e/o realizzati per la terapia delle malattie cardiovascolari (cellule staminali di midollo osseo, mioblasti scheletrici, cellule staminali cardiache), delle malattie neurodegenerative (cellule embrionali e neuroni fetali, cellule staminali neurali, progenitori degli oligodendrociti) e del diabete (cellule staminali embrionali, isole pancreatiche). Infine verranno presentati alcuni promettenti approcci di ingegneria tissutale per la rigenerazione di organi e tessuti (foglietti epiteliali, tessuto cardiaco, tessuto cartilagineo ed osseo).