

INGEGNERIA GENETICA E TERAPIA GENICA (6 CFU)

Corso di Laurea in Biotecnologie
Università degli Studi di Teramo
A.A. 2023-2024
Docente: Prof. Alessia Colosimo

INGEGNERIA GENETICA

Tecnologie essenziali per lo studio del DNA:

- Il clonaggio del DNA: sistemi cellulari *in vivo*; sistemi *in vitro*; vettori.
- Tecnologia ad array.
- Sequenziamento del DNA: metodo di Sanger e di nuova generazione (NGS).

Test genetici:

- Tipologie e tecnologie in uso.

Prodotti del DNA ricombinante per uso terapeutico:

- Farmaci a piccole molecole.
- Anticorpi monoclonali terapeutici.

TERAPIA GENICA

Terapia cellulare:

- Tipologie di cellule staminali.
- Applicazioni cliniche in uso.
- Potenzialità cliniche.
- Cenni su prospettive future: organoidi e stampa 3-D.

Terapia genica:

- Generalità e cenni storici.
- Tipologie di trasferimento genico e di transgene.
- Sistemi di trasferimento genico: sistemi virali (adenovirus, virus adenoassociati, retrovirus, lentivirus, herpes simplex virus) e non virali (elettroporazione, nucleofezione, gene gun, microiniezione nucleare, pressione idrodinamica, liposomi e polimeri cationici).
- Strategie additive
- Strategie correttive: TALEN, ZFN, CRISPR e varianti
- Strategie antitumorali: terapia suicida, RNAi, antiangiogenesi, immunoterapia (CAR-T; inibizione checkpoint immunitari).
- Protocolli clinici nell'uomo: Immunodeficienze congenite (ADA-SCID e X-SCID); Sindrome di Wiskott-Aldrich; Leucodistrofia metacromatica; Talassemie; Amaurosi congenita di Leber; Epidermolisi bullosa giunzionale; Fibrosi Cistica; Distrofia muscolare Duchenne; Atrofia muscolare spinale.
- Limiti e prospettive. Problemi etici. Potenzialità non terapeutiche (doping genetico).

Testi consigliati:

Strachan, Goodship Chinnery – Genetica & Genomica - Zanichelli
Strachan and Read - Genetica umana molecolare- 2007 UTET
Giacca M – Terapia genica -Springer Biomed