

CORSO DI STUDIO: BIOTECNOLOGIE

ANNO ACCADEMICO: 2025-2026

DENOMINAZIONE DELL'INSEGNAMENTO: TERAPIA GENICA (a scelta) – 3 CFU

Principali informazioni sull'insegnamento	
<i>Anno di corso</i>	III anno
<i>Periodo di erogazione</i>	II semestre, da marzo a giugno 2026
<i>Crediti formativi universitari (CFU/ETCS):</i>	3
<i>SSD</i>	BIOS-08/A Biologia Molecolare
<i>Lingua di erogazione</i>	Italiano
<i>Modalità di frequenza</i>	Facoltativa

Docente	
<i>Nome e cognome</i>	Prof. Rocco Savino
<i>Indirizzo mail</i>	savino@unicz.it
<i>Telefono</i>	0961-3694080
<i>Sede</i>	Edificio delle Bioscienze – stanza 14, VII Livello
<i>Sede virtuale</i>	
<i>Ricevimento</i>	Da martedì a giovedì, 14:00-16:00 previo appuntamento via mail

Organizzazione della didattica			
Ore			
<i>Totali</i>	<i>Didattica frontale</i>	<i>Pratica (laboratorio, campo, esercitazione, altro)</i>	<i>Studio individuale</i>
75	24	0	51
CFU/ETCS			
3	3	0	

Obiettivi formativi	Al termine dell'attività formativa lo studente dovrà conoscere le principali tecniche di trasferimento genico; i problemi tecnici superati e ancora da superare; le procedure di terapia genica già entrate nella pratica clinica; essere in grado di esporre gli argomenti trattati in maniera critica ed interconnessa dimostrando la capacità di utilizzare tali conoscenze a supporto delle altre discipline in modo appropriato e di consultare e comprendere testi scientifici, aggiornamenti bibliografici nonché valutare procedure e tecnologie criticamente.
Prerequisiti	Il corso non prevede propedeuticità obbligatorie. Tuttavia, una conoscenza di approfondita della Biologia Molecolare può facilitare la comprensione dei contenuti trattati.

Metodi didattici	Lezioni frontali
-------------------------	------------------



<p>Risultati di apprendimento previsti</p> <p>Da indicare per ciascun Descrittore di Dublino (DD=</p> <p>DD1 Conoscenza e capacità di comprensione</p> <p>DD2 Conoscenza e capacità di comprensione applicate</p> <p>DD3-5 Competenze trasversali</p>	<p>Descrittore di Dublino 1: Conoscenza e capacità di comprensione Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa conoscerà:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Le basi della generazione di vettori virali di terapia genica • Le problematiche insorte nell'applicazione clinica. • I successi che sono stati raggiunti. <p>Descrittore di Dublino 2: Capacità di applicare conoscenza e comprensione Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa sarà in grado di:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Analizzare i passi cruciali nella trasformazione di un virus da un patogeno a un vettore. • Utilizzare tecniche di biologia molecolare per lo scopo sopra menzionato. • Analizzare in maniera critica i risultati clinici relativi alla sperimentazione clinica dei nuovi vettori di terapia genica. <p>Descrittore di Dublino 3: Capacità critiche e di giudizio Autonomia di giudizio Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa dovrà essere in grado di:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Deve saper analizzare le cause del fallimento della maggioranza delle sperimentazioni cliniche. • Sviluppare un approccio critico nella valutazione dei protocolli sperimentali e delle tecniche biotecnologiche avanzate applicate al campo della terapia genica. <p>Descrittore di Dublino 4: Capacità di comunicare quanto si è appreso Abilità comunicative Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa dovrà essere in grado di:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Esporre in modo chiaro e scientificamente corretto le nozioni apprese sulla terapia genica. • Redigere relazioni tecniche su tematiche di trasferimento genico. • Partecipare a discussioni tecniche e scientifiche, dimostrando una buona capacità di argomentazione e sintesi.
------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------



	<p>Descrittore di Dublino 5: Capacità di proseguire lo studio in modo autonomo</p> <p>Capacità di apprendere in modo autonomo</p> <p>Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa dovrà essere in grado di:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Consultare autonomamente la letteratura scientifica per approfondire argomenti specifici della terapia genica. • Adottare un approccio critico nell'apprendimento di nuove tecnologie e metodologie nel settore del trasferimento genico. • Sviluppare capacità di aggiornamento continuo, facendo riferimento anche a seminari specialistici, conferenze corsi di approfondimento nel campo della terapia genica.
<p>Contenuti di insegnamento (Programma)</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Patologie trattabili con la terapia genica. Caratteristiche del vettore ideale di terapia genica • Strategia generale per la costruzione di un vettore virale <ul style="list-style-type: none"> 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 <ul style="list-style-type: none"> 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
<p>Testi di riferimento</p>	<p>Libri di testo</p> <ul style="list-style-type: none"> • Mauro Giacca: Terapia Genica. Springer. ISBN: 978-88-470-1988-1
<p>Note ai testi di riferimento</p>	<p>Il materiale trattato durante il corso è così avanzato ed in continuo divenire che non può esistere un testo sufficientemente aggiornato che tratti gli argomenti del corso in maniera esaustiva. Si consigliano comunque i seguenti articoli scientifici:</p>



	<p>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</p> <p>Rosenbaum L. Tragedy, Perseverance, and Chance - The Story of CAR-T Therapy. N Engl J Med. 2017 Oct 5;377(14):1313-1315</p> <p>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</p>
Materiali didattici	Appunti delle lezioni, eventuali foto delle diapositive scattate a lezione, articoli scientifici sopra menzionati.

Valutazione	
Modalità di verifica dell'apprendimento	<p><i>L'esame finale consiste in una prova scritta preliminare, seguita da una prova orale obbligatoria.</i></p> <p>Prova scritta:</p> <ul style="list-style-type: none"> • <i>Somministrazione di 15 domande sotto forma di quiz a risposta multipla</i> • <i>Durata: 30 minuti.</i> • <i>Obiettivo: valutare la conoscenza di base e specifica dei contenuti trattati durante l'insegnamento (nozioni di base di Terapia Genica esposti a lezione)</i> • <i>La prova scritta è da considerarsi prova di accesso all'orale. Il superamento della prova scritta (voto minimo di 18/30, corrispondente a 9 domande esatte su 15) è necessario per accedere alla prova orale.</i> <p>Prova orale:</p> <ul style="list-style-type: none"> • <i>Tipologia: colloquio orale individuale, finalizzato ad accertare la capacità dello studente di esprimersi con proprietà di linguaggio scientifico, capacità critica e di sintesi, nonché la comprensione approfondita degli argomenti trattati.</i> • <i>Durata indicativa: circa 10-15 minuti.</i> • <i>La prova orale completerà la verifica delle conoscenze, approfondendo gli argomenti affrontati nella prova scritta e includendo aspetti specifici quali la capacità di applicare le conoscenze teoriche acquisite e di affrontare in modo autonomo tematiche inerenti la Terapia Genica</i>



Criteria di valutazione

Conoscenza e capacità di comprensione

Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa dovrà:

- Comprendere le basi della terapia genica, incluse la struttura e la funzione dei principali vettori virali, delle metodiche di trasferimento genico.
- Acquisire una visione integrata della terapia genica e delle sue applicazioni, comprendendo come le innovazioni in questi ambiti possano essere applicate al settore biomedico e farmaceutico.

Conoscenza e capacità di comprensione applicate

Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa dovrà essere in grado di:

- applicare le conoscenze acquisite per lo sviluppo di nuovi vettori di terapia genica:
- valutare l'utilizzo di innovazioni biotecnologiche finalizzate a soddisfare esigenze per patologie per le quali non esiste ancora una terapia efficace.

Autonomia di giudizio

Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa dovrà essere in grado di:

- Analizzare ed elaborare criticamente i dati ottenuti sperimentalmente in ambito di terapia genica.
- Formulare giudizi motivati sull'adozione di specifiche tecniche di biologia molecolare per lo sviluppo di vettori innovativi da produrre in ambito farmaceutico.

Abilità comunicative

Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa dovrà essere in grado di:

- Esporre in modo chiaro e strutturato le conoscenze acquisite utilizzando un linguaggio tecnico appropriato.
- Comunicare i risultati di sperimentazioni cliniche di terapia genica a specialisti del settore e a interlocutori non esperti.
- Redigere relazioni tecniche e scientifiche nel campo della terapia genica.
- Partecipare a discussioni tecniche e dibattiti su tematiche legate alle terapia genica applicate ai settori biomedico e farmaceutico.



	<p>Capacità di apprendere</p> <p>Al termine dell'insegnamento, lo/la studente/studentessa dovrà essere in grado di:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Approfondire in modo autonomo le tematiche relative alla terapia genica attraverso lo studio di testi scientifici e articoli di ricerca. • Mantenersi aggiornato sulle innovazioni tecnologiche nel settore della terapia genica. • Applicare le conoscenze acquisite a nuovi contesti professionali o di ricerca. • Sviluppare un metodo di studio efficace, in grado di integrare conoscenze teoriche e applicazioni pratiche.
<p><i>Criteria di misurazione dell'apprendimento e di attribuzione del voto finale</i></p>	<p><i>Il voto finale è espresso in trentesimi e l'esame si considera superato con una votazione minima di 18/30.</i></p> <p><i>La verifica dell'apprendimento avviene tramite due prove obbligatorie:</i></p> <p>1. Prova scritta (durata: 30 minuti):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Composta da 15 domande a scelta multipla. • Ogni domanda ha un punteggio di 1, il cui totale sarà convertito in voto in trentesimi. • Il voto minimo per accedere alla prova orale è 18/30 (equivalente a 9 risposte corrette su 15). <p>2. Prova orale (durata indicativa: 10-15 minuti):</p> <ul style="list-style-type: none"> • La prova orale completa e approfondisce gli argomenti affrontati nella prova scritta; tutte le tematiche del programma concorrono ugualmente alla formulazione del voto finale. • Viene valutata la capacità di esposizione, l'utilizzo del linguaggio tecnico-scientifico, la capacità critica, l'autonomia di giudizio e l'approfondimento autonomo dei contenuti. <p>Formulazione del voto finale:</p> <p><i>Il voto finale deriva da una valutazione integrata delle prove scritte e orali, con i criteri orientativi riportati nella tabella sottostante.</i></p>

Risultati	Conoscenza e comprensione argomento	Capacità di analisi e sintesi	Utilizzo di referenze
Non idoneo	Importanti carenze. Significative inaccuratezze	Irrelevanti. Frequenti generalizzazioni. Incapacità di sintesi	Completamente inappropriato
18-20	A livello soglia. Imperfezioni evidenti	Capacità appena sufficienti	Appena appropriato



21-23	Conoscenza routinaria	È 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, ha capacità minime di utilizzo delle nozioni apprese.	Utilizza le referenze standard
27-29	Conoscenza più che buona	Ha notevoli capacità di a. e s., ha capacità medie di utilizzo delle nozioni apprese.	Ha approfondito gli argomenti
30 - 30L	Conoscenza ottima	Ha notevoli capacità di a. e s., ha capacità buone/ottime di utilizzo delle nozioni apprese.	Importanti approfondimenti

<i>Altro</i>	
--------------	--

