

DENOMINAZIONE INSEGNAMENTO / ATTIVITÀ FORMATIVA

MODELLI GENETICI BASATI SU CELLULE STAMINALI RIPROGRAMMATE

GENETIC MODELS BASED ON REPROGRAMMED STEM CELLS

INFORMAZIONI INSEGNAMENTO / ATTIVITÀ FORMATIVA

A.A.	2026/2027	CdS	Biotechnology for Industry and Health
Codice	8068487	Canale	Unico
CFU	2	Lingua	Inglese

DOCENTE RESPONSABILE DELL'INSEGNAMENTO / ATTIVITÀ FORMATIVA

IORELLA COLASUONNO

CODOCENTE

Modulo:

OBIETTIVI FORMATIVI E RISULTATI DI APPRENDIMENTO ATTESI

Italiano	OBIETTIVI FORMATIVI: Il principale obiettivo del corso è fornire agli studenti gli strumenti per la comprensione dei meccanismi alla base della riprogrammazione di cellule differenziate in cellule staminali pluripotenti indotte (iPSC) e del loro uso come modello genetico di malattie rare e complesse. Le conoscenze acquisite rappresentano un presupposto indispensabile per lo sviluppo di un approccio razionale alle applicazioni delle biotecnologie nella ricerca personalizzata in ambito biomedico e nella medicina rigenerativa. CONOSCENZA E CAPACITÀ DI COMPrensione: Il corso consentirà di chiarire i meccanismi alla base della riprogrammazione delle iPSC e di approfondire i processi che portano alla generazione di modelli personalizzati di malattie genetiche rare e di malattie neurodegenerative complesse. CAPACITÀ DI APPLICARE CONOSCENZA E COMPrensione: L'obiettivo del corso sarà sviluppare la capacità degli studenti di fare deduzioni logiche basate sui concetti acquisiti nonché avere chiari i meccanismi di generazione di modelli di malattia basati sulla tecnologia delle iPSC.
----------	---

	AUTONOMIA DI GIUDIZIO: Le competenze acquisite con corso forniranno agli studenti un'autonomia di giudizio necessaria per comprendere informazioni complesse relative ai processi di generazione di modello innovativi e delle loro potenzialità in ambito biomedico. ABILITÀ COMUNICATIVE: Lo studente dovrà dimostrare padronanza di linguaggio e chiara comprensione dei temi relativi ai principali argomenti trattati. Sarà valutata la capacità di spaziare tra le tematiche trattate nonché la dialettica nell'esposizione. Lo studente dovrà essere in grado di comunicare con tecnici, professionisti e ricercatori. CAPACITÀ DI APPRENDIMENTO: Lo studente avrà acquisito capacità adeguate allo sviluppo di tematiche relative all'uso delle cellule staminali nella ricerca biomedica, nonché alla normativa vigente in Italia, in Europa e nel mondo. Tali capacità di apprendimento sono altresì funzionali per svolgere la prova finale (orale) su tematiche riguardanti tutto il programma e, in particolar modo, nei suoi aspetti multidisciplinari.
<i>English</i>	LEARNING OUTCOMES: The primary objective of the course is to provide students with the tools to understand the mechanisms underlying the reprogramming of differentiated cells into induced pluripotent stem cells (iPSCs) and their use as genetic disease model. The knowledge acquired is an essential prerequisite for developing a rational approach to the application of biotechnology in personalized biomedical research. KNOWLEDGE AND UNDERSTANDING: The course will help to clarify the mechanisms underlying iPSC reprogramming and delve deeper into the processes that lead to the generation of personalized models of genetic diseases. APPLYING KNOWLEDGE AND UNDERSTANDING: The aim of the course will be to develop students' ability to make logical deductions based on the concepts acquired and to make connections between them. MAKING JUDGEMENTS: The skills acquired during the course will provide students with the independent judgment necessary to understand complex information relating to innovative model generation processes and their potential in the biomedical field. COMMUNICATION SKILLS: Students must demonstrate command of the language and a clear understanding of the main topics covered. Their ability to differentiate between the topics covered, as well as

	their dialectic in their presentation, will be assessed. LEARNING SKILLS: Students will have acquired the skills necessary to develop topics related to the use of stem cells in biomedical research, as well as current regulations in Italy, Europe, and globally. These learning skills will also be essential for the final oral exam, covering topics related to the entire program, particularly its multidisciplinary aspects.
--	--

PREREQUISITI

Italiano	La conoscenza della biologia cellulare e molecolare di base è un prerequisito fondamentale per il corretto apprendimento delle tematiche affrontate nel corso.
English	<i>Knowledge of basic cellular and molecular biology is a fundamental prerequisite for learning the topics covered in the course.</i>

PROGRAMMA E CRONOPROGRAMMA

Italiano	I programma si articolerà in circa 8 lezioni e verranno affrontate le seguenti tematiche: -Introduzione alle cellule staminali e al concetto di riprogrammazione cellulare: implicazioni in biotecnologia e medicina rigenerativa. -Meccanismi molecolari della pluripotenza e meccanismi epigenetici durante la riprogrammazione. -Tecniche per generare iPSC: metodi virali e metodi non integrativi. -Coltura, mantenimento e caratterizzazione delle iPSC: condizioni di coltura: substrati, terreni, feeder vs feeder-free. Marcatori di pluripotenza e test funzionali: saggi di differenziamento, formazione di teratomi. -Applicazioni biomediche delle iPSC: focus su malattie genetiche. Generazione di iPSC paziente-specifiche per studiare meccanismi molecolari di patologie rare. Studio di patologie complesse (es. Alzheimer, Parkinson) su base genetica. Utilizzo in farmacologia di precisione e test di risposta ai farmaci. -Terapie cellulari e medicina rigenerativa con iPSC. Produzione di cellule funzionali per trapianti: cellule ematopoietiche, cardiache, neuronali. Prospettive nella cura di malattie genetiche ereditarie con cellule corrette. Trial clinici in corso basati su iPSC. Modelli 3D. -Futuro delle iPSC nella medicina personalizzata e nelle terapie genetiche avanzate. -Questioni etiche e quadro giuridico della ricerca sulle cellule staminali.
English	<i>The program will be structured into approximately 8 lessons, covering the following topics:</i> <i>-Introduction to stem cells and the concept of cellular reprogramming: implications in</i>

	<i>biotechnology and regenerative medicine.</i> -Molecular mechanisms of pluripotency and epigenetic processes during reprogramming -Techniques for generating iPSCs: viral and non integrative methods. -Culture, maintenance, and characterization of iPSCs: culture conditions (substrates, media, feeder vs. feeder-free); pluripotency markers and functional assays (differentiation assays, teratoma formation). -Biomedical applications of iPSCs: focus on genetic diseases. Generating patient-specific iPSCs to study molecular mechanisms of rare disorders; modeling complex diseases (e.g. Alzheimer's, Parkinson's..) with a genetic basis; use in precision pharmacology and drug response testing. 3D organoids. -Cell therapies and regenerative medicine with iPSCs: producing functional cells for transplantation (hematopoietic, cardiac, neural); prospects for treating hereditary genetic diseases using corrected cells; current iPSC-based clinical trials. -The future of iPSCs in personalized medicine and advanced genetic therapies. - Ethical Issues and legal framework of stem cell research
--	--

TESTI ADOTTATI E BIBLIOGRAFIA DI RIFERIMENTO

Italiano	Apposite dispense saranno fornite agli studenti unitamente ad un elenco di review e articoli scientifici sugli argomenti trattati. Bibliografia di riferimento: -Takahashi K, Tanabe K, Ohnuki M, Narita M, Ichisaka T, Tomoda K, Yamanaka S. Induction of pluripotent stem cells from adult human fibroblasts by defined factors. <i>Cell</i>. 2007 Nov 30;131(5):861-72. doi: 10.1016/j.cell.2007.11.019. PMID: 18035408. -Takahashi K, Yamanaka S. A decade of transcription factor-mediated reprogramming to pluripotency. <i>Nat Rev Mol Cell Biol</i>. 2016 Mar;17(3):183-93. doi: 10.1038/nrm.2016.8. Epub 2016 Feb 17. PMID: 26883003. -Rao MS, Malik N. Assessing iPSC reprogramming methods for their suitability in translational medicine. <i>J Cell Biochem</i>. 2012 Oct;113(10):3061-8. doi: 10.1002/jcb.24183. PMID: 22573568; PMCID: PMC3552293. -Rowe RG, Daley GQ. Induced pluripotent stem cells in disease modelling and drug discovery. <i>Nat Rev Genet</i>. 2019 Jul;20(7):377-388. doi: 10.1038/s41576-019-0100-z. PMID: 30737492; PMCID: PMC6584039. -Anderson RH, Francis KR. Modeling rare diseases with induced pluripotent stem cell technology. <i>Mol Cell Probes</i>. 2018 Aug;40:52-59. doi: 10.1016/j.mcp.2018.01.001. Epub 2018 Jan 5. PMID: 29307697; PMCID: PMC6033695. -Takahashi J. iPSC-based cell replacement therapy: from basic research to clinical application. <i>Cytotherapy</i>. 2025 Jul;27(7):835-842. doi: 10.1016/j.jcyt.2025.01.015. Epub 2025 Feb 1. PMID: 39969437.
English	<i>Specific handouts will be provided to students together with a list of reviews and scientific articles on the topics covered.</i>

	<i>Reference Bibliography:</i> -Takahashi K, Tanabe K, Ohnuki M, Narita M, Ichisaka T, Tomoda K, Yamanaka S. Induction of pluripotent stem cells from adult human fibroblasts by defined factors. <i>Cell</i>. 2007 Nov 30;131(5):861-72. doi: 10.1016/j.cell.2007.11.019. PMID: 18035408. -Takahashi K, Yamanaka S. A decade of transcription factor-mediated reprogramming to pluripotency. <i>Nat Rev Mol Cell Biol</i>. 2016 Mar;17(3):183-93. doi: 10.1038/nrm.2016.8. Epub 2016 Feb 17. PMID: 26883003. -Rao MS, Malik N. Assessing iPSC reprogramming methods for their suitability in translational medicine. <i>J Cell Biochem</i>. 2012 Oct;113(10):3061-8. doi: 10.1002/jcb.24183. PMID: 22573568; PMCID: PMC3552293. -Rowe RG, Daley GQ. Induced pluripotent stem cells in disease modelling and drug discovery. <i>Nat Rev Genet</i>. 2019 Jul;20(7):377-388. doi: 10.1038/s41576-019-0100-z. PMID: 30737492; PMCID: PMC6584039. -Anderson RH, Francis KR. Modeling rare diseases with induced pluripotent stem cell technology. <i>Mol Cell Probes</i>. 2018 Aug;40:52-59. doi: 10.1016/j.mcp.2018.01.001. Epub 2018 Jan 5. PMID: 29307697; PMCID: PMC6033695. -Takahashi J. iPSC-based cell replacement therapy: from basic research to clinical application. <i>Cytotherapy</i>. 2025 Jul;27(7):835-842. doi: 10.1016/j.jcyt.2025.01.015. Epub 2025 Feb 1. PMID: 39969437.
--	---

DESCRIZIONE DELLE MODALITÀ DI SVOLGIMENTO E METODI DIDATTICI ADOTTATI

☒ In presenza ☐ A distanza

Italiano	Lezioni frontali in aula. Agli studenti verranno forniti articoli tratti dalla letteratura scientifica, che saranno discussi durante le lezioni in aula.
English	Classroom lessons. Students will be provided with articles taken from scientific literature, which will be discussed during classroom lessons.

MODALITÀ DI FREQUENZA

☐ frequenza obbligatoria ☒ frequenza facoltativa

DESCRIZIONE DELLE MODALITÀ DI FREQUENZA

Italiano	Lezioni frontali in aula
English	Class lectures

MODALITÀ DI VALUTAZIONE

☐ Prova scritta ☒ Prova orale ☐ Prova di laboratorio ☐ Prova pratica
☐ Valutazione in itinere ☐ Valutazione di progetto ☐ Valutazione di tirocinio

COMPOSIZIONE DELLA COMMISSIONE VALUTATRICE

Fiorella Colasuonno, Federica Rossin

DESCRIZIONE DELLE MODALITÀ E DEI CRITERI DI VERIFICA DELL'APPRENDIMENTO

Italiano	L'esame consiste in una presentazione power point su un argomento del programma precedentemente concordato con il docente e un colloquio orale volto a verificare il livello di conoscenza degli altri argomenti trattati. Graduazione del voto: -Non idoneo: importanti carenze nella conoscenza e comprensione degli argomenti; limitate capacità critiche e di giudizio. Gli argomenti sono esposti con linguaggio inappropriato. -18-21, lo studente dimostra di aver acquisito i concetti di base della disciplina, e riesce a presentarli con linguaggio abbastanza corretto e appropriato. -22-25, lo studente ha acquisito in maniera congrua i concetti di base della disciplina, ed è adeguatamente in grado di effettuare i collegamenti fra le varie materie. Il linguaggio usato nelle risposte è appropriato e corretto. -26-29, lo studente possiede un bagaglio di conoscenze completo e ben strutturato. È in grado di applicare e rielaborare in maniera autonoma le conoscenze acquisite. Evidenzia ricchezza di riferimenti e capacità logico-analitiche -30 e 30 e lode, lo studente possiede un bagaglio di conoscenze completo e approfondito. Sa applicare conoscenze a casi e problemi complessi ed estenderle a situazioni nuove. Sa presentare le sue conoscenze in modo brillante e con perfetta proprietà di linguaggio.
English	<i>The exam consists of a PowerPoint presentation on a topic from the program previously agreed upon with the teacher and an oral exam to assess the student's knowledge of the other topics covered.</i> <i>Grade Grading:</i> <i>-Failure: Significant deficiencies in knowledge and understanding of the topics; limited critical thinking and judgment skills. The topics are presented using inappropriate language.</i> <i>-18-21: The student demonstrates a thorough understanding of the basic concepts of the subject and is able to present them using fairly correct and appropriate language.</i> <i>-22-25: The student has adequately mastered the basic concepts of the subject and is adequately able to make connections between the various subjects. The language used in the answers is appropriate and correct.</i> <i>-26-29: The student possesses a comprehensive and well-structured knowledge base. He or she is able to independently apply and rework the acquired knowledge. He or she demonstrates a wealth of references and logical-analytical skills.</i> <i>-30 and 30 cum laude: The student shows a comprehensive and in-depth knowledge base. He or she is able to apply knowledge to complex cases and problems and extend it to new situations. He or she is able to present his or her knowledge brilliantly and with perfect command of language.</i>