UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DI PADOVA

CLMCU IN CHIMICA E TECNOLOGIA FARMACEUTICHE

CORSI A SCELTA - ANNO ACCADEMICO 2024/2025

MODULO DI PROPOSTA

Nome del docente responsabile: Rosa Di Liddo

qualifica: Professore Associato di Anatomia Umana

Nomi degli altri docenti coinvolti: Michele Morari, Sara De Martin, Mariangela Garofalo

SSD: BIO/16, BIO/14, CHIM/09

Dipartimento: Dipartimento di Scienze del Farmaco

Titolo del corso a libera scelta (in italiano): **PRODOTTI MEDICINALI PER LE TERAPIE AVANZATE**

Titolo del corso a libera scelta (in inglese): Advanced therapeutics

Lingua di erogazione: Italiano

Anno/semestre e periodo di svolgimento del corso proposto: Terzo e quarto anno/secondo semestre

Obiettivi didattici:

Il corso mira a fornire una panoramica degli approcci terapeutici innovativi (terapia cellulare, farmaci a RNA, medicinali per l'immunoterapia) recentemente approvati o in fase di sviluppo per il trattamento o la prevenzione di patologie rare, oncologiche, infiammatorie, autoimmunitarie e infettive. Gli studenti acquisiranno conoscenze generali dello stato dell'arte di questi approcci terapeutici, le basi per l'identificazione e la validazione di eventuali nuovi target da sfruttare in questo contesto, insieme alle modalità di preparazione di questi farmaci/sistemi terapeutici e alle principali problematiche connesse al loro impiego.

Descrizione dei contenuti (PROGRAMMA):

Terapia cellulare. 1) Tipologie, vantaggi e svantaggi dei medicinali di terapia cellulare, di ingegneria

tessutale e di terapia avanzata combinata; 2) normative in ambito clinico/farmaceutico per la raccolta, la processazione e la criopreservazione dei prodotti destinati alla terapia cellulare; 3) criteri di valutazione e metodologie di ottenimento di cellule staminali embrionali, fetali, adulte e pluripotenti indotte per applicazioni di terapia avanzata; 4) linee guida per la valutazione dell'immunofenotipo, della crescita espansiva in vitro e dell'impiego di cellule staminali nei protocolli terapeutici; 5) studi clinici di terapia cellulare in Europa e negli Stati Uniti; 6) produzione di organoidi per la sperimentazione in vitro di farmaci.

Farmaci a RNA. 1) Tipologie di farmaci a RNA: RNA antisenso, RNA interference, RNA aptameri, vaccini a mRNA. 2) Farmacodinamica e farmacocinetica dei farmaci a mRNA. 3) Farmacoterapia dei farmaci a mRNA, con particolare attenzione ai trial clinici attualmente in corso.

Immunoterapia. 1) Principi generali dell'immunoterapia oncologica: l'asse PD1/PD-L1 e gli inibitori di checkpoint immunitari. 2) Farmacodinamica e farmacocinetica dei farmaci per l'immunoterapia oncologica. 3) Esempi di protocolli terapeutici che prevedono l'utilizzo di inibitori di checkpoint immunitari.

Utilizzo della Nanomedicina nella terapia contro il cancro. Impiego di virus oncolitici (appartenenti a diverse classi replicative) come nuovi agenti immunoterapici per contrastare la progressione dei tumori. Lo stato dell'arte dei virus oncolitici approvati per l'uso in clinica: case study di T-VEC, Delytact. Verranno approfondite le varie strategie atte a migliorare l'efficacia antitumorale dei virus oncolitici (virus oncolitici armati con citochine, virus oncolitici armati con enzimi convertitori di pro-drug, virus oncolitici armati di specifici ligandi). Particolare attenzione sarà posta verso l'utilizzo dei virus oncolitici in combinazione con altre terapie molecolari e cellulari (chemioterapia, inibitori dei checkpoint immunologici, CAR-T). Verranno esaminati i principali clinical trials attualmente in corso e le relative sfide da superare su base razionale, opportunità ed applicazioni cliniche. Infine, saranno descritte le strategie di sviluppo/impiego di vaccini oncolitici per il trattamento del cancro.

Gene editing.

Tecniche molecolari utilizzate per l'editing del genoma: CRISPR/Cas9. Strategie di applicazione del

gene editing per la terapia.

Requisiti richiesti agli Studenti per la partecipazione (eventuali propedeuticità):

Biologia animale e Anatomia Umana. Microbiologia e Patologia.

Modalità di valutazione dei prerequisiti (se previsti):

Modalità di svolgimento della prova finale:

Terapia cellulare. L'esame finale consisterà in una prova orale. L'esito sarà espresso valutando: i) il livello di conoscenza della materia; ii) la chiarezza espositiva; iii) la proprietà di linguaggio tecnico-scientifico.

Farmaci a mRNA e immunoterapia. Colloquio orale in cui lo studente, partendo dall'approfondimento di un farmaco specifico a sua scelta, illustra le competenze acquisite durante il corso.

Nanomedicina nella terapia contro il cancro. L'esame finale consiste in un colloquio orale volto a valutare le conoscenze e le competenze acquisite durante il corso. Gli studenti prepareranno un breve seminario che prevede l'approfondimento e l'aggiornamento di un argomento trattato a lezione.