

Centro per la Ricerca e la Didattica Universitaria

---

***Progetto: "Progressi in Biologia e Medicina"***

*19° corso di formazione avanzata*

**Editing del genoma (e medicina genomica)**

21-22-23 aprile 2021 - CORSO ONLINE



*A partire dalla scoperta della struttura del DNA (1953) l'indagine a livello molecolare dei fenomeni viventi ha determinato un'autentica rivoluzione scientifica e tecnologica che è coincisa con la nascita della genomica. Tra le molte applicazioni che la genomica prospetta per il futuro dell'uomo, alcune delle più importanti riguardano il settore biomedico. La "Medicina Genomica", e cioè la medicina basata su dati che riguardano i genomi e in particolare il genoma umano, permette già oggi di immaginare un futuro in cui le tecniche di prevenzione, diagnosi e cura saranno perfettamente calibrate sulle caratteristiche biologiche di ciascun individuo, aprendo così la via a una nuova medicina sempre più "personalizzata" e "di precisione". La recente rivoluzione rappresentata dalla tecnica più avanzata di editing del genoma, CRISPR-Cas9, dovuta a Jennifer Doudna ed Emmanuelle Charpentier, permette ora concretamente di delineare nuove prospettive di ricerca e di terapia che il Collegio Ghislieri discuterà nel suo XIX corso di formazione avanzata.*

*Prof. CarloAlberto Redi*

## PROGRAMMA DEL CORSO

### Mercoledì 21 aprile

8,30 – 12,30

- Saluti e introduzione al Corso
- Quando un corpo può dirsi umano: CRISPR e cellule germinali (C.A. Redi)
- CRISPR-Cas9 e l'evoluzione dell'editing genomico (M. Monti)
- dCas9-based epigenetic transcriptional activation as therapeutic strategy for genetic and sporadic brain disorders (V. Broccoli)

14,30 – 17,30

- Selezione innaturale: cambiare le leggi della ereditarietà per il controllo delle malattie trasmesse da vettori (A. Crisanti)
- Protein engineering and Molecular Evolution to Understand Molecular Function (A. Mattevi)
- Editing del genoma e sviluppo di nuove potenziali strategie terapeutiche per il sistema nervoso (F. Casoni)

18,00

Lettura: *Chi ci cura: il dottore o la genetica?* (G. Remuzzi)

### Giovedì 22 aprile

9,00 – 12,00

- Using genome editing to investigate the regulation of autophagy (R. Ketteler)
- Da conoscenza zero alla Precision Medicine: l'impatto della genetica nella Sindrome del QT lungo (P. J. Schwartz)
- Dalla Genetica Mendeliana al Genetic Risk Score verso una medicina di precisione (N. Marziliano)

12,00

Lettura: *Terapia genica per le malattie ereditarie del sistema ematopoietico* (M. Cavazzana)

14,30 – 16,30

- Genome editing in modelli cellulari ed animali di malattie mieloproliferative croniche (V. Rosti)
- Nucleasi programmabili ad alta precisione per la terapia genica (A. Cereseto)

16,30

- Proiezione del film *Human Nature*

### Venerdì 23 aprile

8,30 – 12,00

- Il Sistema CRISPR/Cas9 in Oncologia: genomica funzionale, identificazione di nuovi bersagli terapeutici e medicina di precisione (G. Picco)
- Medicina personalizzata in prevenzione: stato dell'arte negli screening oncologici (P. Giorgi Rossi)
- Da asilomar al genome editing: etica della ricerca e modelli di decisione (F. Rufo, A. Ficorilli)

12,00

Lettura: *Prospettive attuali e future dell'uso delle cellule CAR-T* (F. Locatelli)

- Compilazione del questionario per l'ottenimento dei crediti ECM

## RELATORI

- **Vania Broccoli**, *Stem Cells and Neurogenesis Unit, Division of Neuroscience, San Raffaele Scientific Institute, Milano*
- **Andrea Crisanti** *Dipartimento di Medicina Molecolare, Università di Padova*
- **Filippo Casoni**, *Università Vita-Salute San Raffaele, Milano*
- **Marina Cavazzana**, *Biotherapy Department, Hôpital Necker-Enfants Malades, Parigi, Francia*
- **Manuela Monti**, *Dipartimento di Sanità Pubblica, Medicina Sperimentale e Forense, Università di Pavia*
- **Anna Cereseto**, *Laboratory of Molecular Virology, Centre for Integrative Biology (CIBIO), Università di Trento*
- **Antonella Ficorilli**, *Società per l'epidemiologia e la prevenzione "Giulio A. Maccacaro", Impresa sociale srl, Milano*
- **Robin Ketteler**, *Medical Research Council, Laboratory for Molecular Cell Biology, University College London, Inghilterra*
- **Franco Locatelli**, *Dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica, IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma*
- **Andrea Mattevi**, *Dipartimento di Biologia e Biotecnologie "L. Spallanzani", Università di Pavia*
- **Nicola Marziliano**, *Dipartimento di Medicina e di Scienze della Salute "Vincenzo Tiberio", Università degli Studi del Molise, Campobasso*
- **Gabriele Picco**, *Wellcome Trust Sanger Institute, Cambridge, United Kingdom*
- **CarloAlberto Redi**, *accademico dei Lincei, Collegio Ghislieri, Pavia*
- **Giuseppe Remuzzi**, *Direttore Scientifico, Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, Milano*
- **Vittorio Rosti**, *Centro per lo Studio e la Cura della Mielofibrosi, Laboratorio di Biochimica, Biotecnologie e Diagnostica Avanzata, Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo, Pavia*
- **Paolo Giorgi Rossi**, *Servizio Epidemiologia, Azienda Unità Sanitaria Locale di Reggio Emilia*
- **Fabrizio Rufo**, *Dipartimento di Biologia Ambientale, Sapienza Università di Roma*
- **Peter J. Schwartz**, *Istituto Auxologico Italiano IRCCS - Centro per lo Studio e la Cura delle Aritmie Cardiache di Origine Genetica, Milano*

## INFORMAZIONI GENERALI

### ***A chi è rivolto il Corso***

A giovani laureati in Medicina e Chirurgia, in Scienze Biologiche o in Biotecnologie che desiderino dedicarsi alla ricerca.

A Ricercatori già impegnati in progetti di studio presso Laboratori, Cliniche universitarie, Ospedali.

A Medici e Biologi che intendano approfondire le proprie conoscenze sugli argomenti oggetto del corso.

Agli Alunni del Collegio Ghislieri interessati agli argomenti trattati.

### ***Iscrizione***

Iscrizione online, fino a un massimo di 150 iscritti, **entro il 20 aprile 2021** su Piattaforma FAD Nadirex, al seguente link: [https://www.nadirexecm.it/eventi/editing\\_genoma](https://www.nadirexecm.it/eventi/editing_genoma)

### ***Partecipazione al Corso***

Il corso si svolgerà in modalità telematica.

La partecipazione al corso è gratuita grazie al contributo della Fondazione MINTAS e prevede:

- partecipazione alle attività didattico-scientifiche online
- guida agli argomenti trattati in formato PDF
- attestato di frequenza scaricabile direttamente online dalla propria area riservata della piattaforma
- attribuzione dei crediti ECM
- attestato ECM (trasmesso entro i 90 giorni successivi al corso tramite posta elettronica)

### ***E.C.M.***

Il corso è accreditato presso il Ministero della Salute nel programma di Educazione Continua in Medicina per n.150 persone e ha ottenuto n. 31,5 crediti formativi (ECM 265-319458).

Per ottenere i crediti ECM è necessario partecipare almeno al 90% dell'attività formativa.

Il congresso resterà visibile sul sito [www.nadirexecm.it](http://www.nadirexecm.it), accedendo alla Vostra area riservata, per le 72 ore successive alla conclusione del corso.

Per visionare tale registrazione è necessario inserire username e password generati al momento della registrazione.

Il Questionario di valutazione ECM (obbligatoriamente a risposta multipla e doppia randomizzazione) sarà compilabile online entro le 72 ore successive al termine del corso, con soglia di superamento di almeno il 75% delle risposte corrette.

### ***Materiale didattico***

On-line, sul sito del Collegio Ghislieri, è possibile scaricare le versioni digitali di tutti i volumi realizzati nelle edizioni precedenti dei corsi: <https://www.ghislieri.it/fondazione-ghislieri/centro-didattica-universitaria-e-ricerca/biologia-e-medicina/>