

TERÀPIA GÈNICA

Curs:2003-2004

Programa:

TEMA 1

Bases conceptuals de la Teràpia Gènica. Teràpia Gènica *in vivo* i *ex vivo*. Gens terapèutics. Vectors virals i no virals.

TEMA 2

Vectors retrovirals derivats del virus de la leucèmia murina. Cicle replicatiu dels retrovirus. Obtenció de vectors retrovirals. Expressió gènica a partir de vectors retrovirals. Aplicacions.

TEMA 3

Vectors lentivirals (LV). Estructura genètica dels lentivirus. Obtenció de vectors derivats de lentivirus. Característiques. Aplicacions.

TEMA 4

Vectors adenovírics. (Ad). Estructura i organització genòmica dels adenovirus. Obtenció de vectors adenovírics. Característiques. Aplicacions. Obtenció de vectors d'última generació menys immunogènics.

TEMA 5

Vectors adenoassociats (AAV). Biologia dels virus adenoassociats. Obtenció de vectors recombinants derivats de virus adenoassociats. Característiques. Aplicacions.

TEMA 6

Desenvolupament de vectors virals derivats del virus de l'herpes simplex (HSV). Característiques. Aplicacions. Altres vectors virals. Possibles aplicacions.

TEMA 7

Vectors no virals (I). Utilització de liposomes catiónics en teràpia gènica. Transferència gènica mitjançada per polímers catiónics. Transferència gènica mitjançada per receptors.

TEMA 8

Vectors no virals (II). Transferència de DNA plasmídic en solució a múscul esquelètic. Electrotransferència. Transferència de DNA plasmídic en solució a fetge mitjançant procediments hidrodinàmics. Aplicacions.

TEMA 9

Encapsulació de cèl·lules manipulades genèticament per a teràpia gènica. Característiques de les càpsules. Aplicacions.

TEMA 10

Obtenció i utilització de cèl·lules mares pluripotencials (Stem Cells) per a teràpia. Teràpia gènica i stem cells.

TEMA 11

RNA de interferència (siRNA). Teràpia gènica basada en la utilització de siRNA. Aplicacions.

TEMA 12

Desenvolupament de models animals de malalties humanes per a l'assaig de nous protocols de teràpia gènica.

TEMA 13

Teràpia gènica per a malalties hereditàries monogèniques (I) Immunodeficiències. Malalties lisosomals. Fibrosi quística.

TEMA 14

Teràpia gènica per a malalties hereditàries monogèniques (II). Hemofília. Distròfies musculars. Altres malalties.

TEMA 15

Teràpia gènica per a malalties cardiovasculars.

TEMA 16

Teràpia gènica per a diabetis mellitus.

TEMA 17

Teràpia gènica per a malalties neurodegeneratives.

TEMA 18

Teràpia gènica per a malalties infeccioses. Sida. Hepatitis. Vacunes de DNA.

TEMA 19

Teràpia gènica per a càncer. Immunoteràpia. Utilització de gens "suïcides". Teràpies antiangiogèniques. Utilització de gens supressors de tumors. Utilització de seqüències antisentit. Altres estratègies terapèutiques.

TEMA 20

Teràpia gènica de l'hematopoiesis.

TEMA 21

Teràpia gènica per malalties oculars.

TEMA 22

Teràpia gènica pre-natal (In útero)

TEMA 23

Protocols clínics. Fases. Regulació Europea. Regulació als USA. Aspectes ètics de la teràpia gènica.

Bibliografia:

- 1- **Gene Therapy technologies, applications and regulations. From Laboratory to Clinic.** Edited by Anthony Meager. John Wiley & Sons, LTD. 1999.
- 2- **Gene Therapy. Therapeutic Mechanisms and Strategies.** Edited by Nancy Smyth Templeton, Danilo D. Lasic. Marcel Dekker, Inc. 2000.
- 3- **Gene Therapy Protocols. 2nd Edition.** Edited by Jeffrey R. Morgan. Humana Press. 2002.
- 4- **Human Molecular Genetics 2.** T. Strachan i A.P. Read. John Wiley & Sons, Inc., Publication. 1999.
- 5- **Molecular biotechnology principles and applications of recombinant DNA.** Bernard R. Glick and Jack J. Pasternak. Washington ASM Press cop. 1994