

TERÀPIA GÈNICA

Professor responsable: Dra. Fàtima Bosch

Curs:2001-2002

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. Vectors derivats d'alfavirus. 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 en solució a múscul esquelètic. Electrotransferència. Utilització de la biobalística per a la transferència gènica. Aplicacions.

TEMA 9

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

TEMA 10

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

TEMA 11

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

TEMA 12

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

TEMA 13

Teràpia gènica per a malalties cardiovasculars.

TEMA 14

Teràpia gènica per a diabetis mellitus.

TEMA 15

Teràpia gènica per a malalties neurodegeneratives.

TEMA 16

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

TEMA 17

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 18

Teràpia gènica de l'hematopoiesis.

TEMA 19

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

TEMA 20

Teràpia gènica per malalties oculars.

TEMA 21

Teràpia gènica pre-natal (In útero)

TEMA 22

Protocols clínics. Fases. Regulació Europea. Regulació als USA.

TEMA 23

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- **Human Molecular Genetics 2.** T. Strachan i A.P. Read. John Wiley & Sons, Inc., Publication. 1999.
- 4- **Molecular biotechnology principles and applications of recombinant DNA.** Bernard R. Glick and Jack J. Pasternak. Washington ASM Press cop. 1994