

TERÀPIA GÈNICA

Curs:2008-2009

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 (HD-Ad). Adenovirus oncolítics.

TEMA 5

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

TEMA 6

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

TEMA 7

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 8

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

TEMA 9

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

TEMA 12

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

TEMA 13

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 14

Teràpia gènica per a diabetis mellitus. Teràpia gènica per a malalties cardiovasculars.

TEMA 15

Teràpia gènica per a malalties neurodegeneratives.

TEMA 16

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

TEMA 17

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

Bibliografia:

1- Gene and Cell Therapy. Therapeutic Mechanisms and Strategies. 2nd Edition. Edited by Nancy Smyth Templeton. Marcel Dekker, Inc. 2004.

2- Gene Therapy technologies, applications and regulations. From Laboratory to Clinic. Edited by Anthony Meager. John Wiley & Sons, LTD. 1999.

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.