

Transgènesi i Teràpia Gènica: de l'Animal a la Clínica

2013/2014

Code: 42891

ECTS Credits: 9

Degree	Type	Year	Semester
4313772 Biotecnologia Avançada	OT	0	1

Contact

Name: Maria Fátima Bosch Tubert

Email: Fatima.Bosch@uab.cat

Use of languages

Principal working language: anglès (eng)

Prerequisites

Llicenciats dins l'àmbit de Ciències de la Vida, per exemple:

Biologia, Bioquímica, Biomedicina, Biotecnologia, Farmàcia, Genètica, Medicina, Veterinària.

Objectives and Contextualisation

- Al finalitzar el mòdul l'estudiant coneixerà:
- les diferents tecnologies d'obtenció d'animals transgènics que permeten la sobreexpressió o bé el bloqueig de l'expressió de gens endògens,
- les aplicacions d'aquestes tecnologies en el camp de la biomedicina i la ramaderia.
- L'anatomia i embriologia de ratolí per tal de comprendre el desenvolupament embrionari normal dels òrgans i utilitzar el coneixement morfològic per analitzar les alteracions anatòmiques dels ratolins manipulats genèticament.
- La metodologia de teràpia gènica in vivo i ex vivo, amb els diferents vectors per a la transferència gènica, tant virals com no virals, els seus avantatges i inconvenients, les vies d'administració i les aplicacions al tractament de malalties humanes tant hereditàries com no hereditàries.

Skills

Biotecnologia Avançada

- Aplicar les tècniques de modificació dels éssers vius o part d'aquests per millorar processos i productes farmacèutics i biotecnològics, o per desenvolupar nous productes. (Especialitat biotecnologia molecular i terapèutica)
- Integrar i fer ús deines de biotecnologia avançada per resoldre problemàtiques en àmbits biotecnològics emergents.
- Que els estudiants sàpiguin aplicar els coneixements adquirits i la seva capacitat de resolució de problemes en entorns nous o poc coneguts dins de contextos més amplis (o multidisciplinaris) relacionats amb la seva àrea d'estudi.
- Que els estudiants sàpiguin comunicar les seves conclusions, així com els coneixements i les raons últimes que les fonamenten, a públics especialitzats i no especialitzats d'una manera clara i sense ambigüitats
- Tenir coneixements que aportin la base o l'oportunitat de ser originals en el desenvolupament o l'aplicació d'idees, sovint en un context de recerca
- Utilitzar i gestionar de manera responsable informació bibliogràfica i recursos informàtics relacionats amb la biotecnologia.

Learning outcomes

1. Descriure els fonaments de la teràpia gènica in vivo i ex vivo.
2. Distingir les diferents metodologies usades per a obtenir animals transgènics que permeten la sobreexpressió, el bloqueig o la modificació de gens endògens de manera ubiqua o específica de teixit i/o induïble.
3. Explicar les característiques dels diferents tipus de vectors usats per a la transferència gènica, els seus avantatges i inconvenients, així com la seva utilitat per a cada malaltia o teixit.
4. Interpretar els resultats dels assajos clínics de teràpia gènica en humans.
5. Interpretar les alteracions moleculars o fisiològiques d'un animal transgènic.
6. Proposar un protocol d'utilització de teràpia gènica.
7. Que els estudiants sàpiguin aplicar els coneixements adquirits i la seva capacitat de resolució de problemes en entorns nous o poc coneguts dins de contextos més amplis (o multidisciplinaris) relacionats amb la seva àrea d'estudi.
8. Que els estudiants sàpiguin comunicar les seves conclusions, així com els coneixements i les raons últimes que les fonamenten, a públics especialitzats i no especialitzats d'una manera clara i sense ambigüitats
9. Tenir coneixements que aportin la base o l'oportunitat de ser originals en el desenvolupament o l'aplicació d'idees, sovint en un context de recerca
10. Utilitzar i gestionar de manera responsable informació bibliogràfica i recursos informàtics relacionats amb la biotecnologia.
11. Visualitzar els canvis morfològics en un animal transgènic.

Content

Bloc 1: Embriologia i Anatomia de ratolí

Bloc 2: Animals transgènics

Bloc 3: Teràpia Gènica

Bloc 4: Disseny d'assajos clínics amb teràpia gènica

Methodology

Combinarem classes presencials i les pràctiques amb el treball autònom de l'estudiant i la presentació d'un treball dirigit pel professor.

Teoria 72 %

Pràctiques laboratori 11 %

Treball tutoritzat 14 %

Tutories 3 %

Activities

Title	Hours	ECTS	Learning outcomes
Type: Directed			
classes magistrals i pràctiques	55	2.2	1, 2, 3, 4, 5, 6, 7, 9, 11
Type: Supervised			
Preparació de treballs i pràctiques	44	1.76	3, 6, 7, 8, 10
Type: Autonomous			
Preparació d'exàmens i recerca bibliogràfica	120	4.8	1, 2, 3, 4, 5, 6, 7, 8, 9, 10, 11

Evaluation

L'avaluació del mòdul es farà a partir dels treballs realitzats pels estudiants, l'assistència i participació a classe, les pràctiques i la nota d'un examen a final de curs

Evaluation activities

Title	Weighting	Hours	ECTS	Learning outcomes
Assistència a pràctiques	8%	0	0	4, 5, 7, 11
Assistència i participació activa a classe	10%	0	0	1, 2, 3, 4, 5, 6, 7, 9, 11
Defensa oral de treballs	32%	2	0.08	2, 3, 4, 5, 8, 10
Proves teòrico-pràctiques	50%	4	0.16	1, 2, 3, 4, 5, 6, 7, 8, 9, 11

Bibliography

Bibliografia

Gene and Cell Therapy. Therapeutic and Strategies. 2nd Edition. Edited by Nancy Smith Templeton, 2000.
Molecular Medicine. Edited by R.J. Trent. 3rd Edition. Elsevier Academic Press. 2005.
DNA Pharmaceuticals. Formulation and Delivery in Gene Therapy,
DNA Vaccination and Immunotherapy. Martin Scheef. Wiley-VCH Verlag GmbH & Co. KGaA, 2005.
Gene Therapy Technologies, applications and regulations. From Laboratory to Clinic. Edited by Anthony Meager. John Wiley & Sons, LTD, 1999.
Gene Therapy. Therapeutic Mechanisms and Strategies. Edited by Nancy Smith Templeton, Danilo D Basic. Marcel Dekker, Inc, 2000.
Gene Therapy Protocols. 2nd Edition. Edited by Jeffrey R Morgan Humana Press, 2002.
Human Molecular Genetics 2. T Strachan & AP Read. John Wiley & Sons, Inc., 1999.
Molecular Biotechnology Principles and Applications of Recombinant DNA. Bernard R Glick and Jack J Pasternak. Washington ASM Press, 1994.
The anatomy of the laboratory mouse. M. J. Cook. Academic Press, 1965
A color atlas of sectional anatomy of the mouse. T. Iwaki, H Yamashita, T. Hayakawa. Braintree Scientific, Inc., 2001.
The atlas of mouse development. M. H. Kaufman. Academic Press, 1995.
Transgenic animals. Generation and use. L.M. Houdebine. Harwood Academic Publishers 1997.
Manipulating the mouse embryo. A laboratory manual. 3rd Edition. A Nagy, et al. Cold Spring Harbor Laboratory Press, 2003.
Mouse genetics and transgenics. A practical approach. Ed. IJ Jackson & CM Abbott. Oxford University Press, 2000.
Gene Targeting. A practical approach. 2nd Edition. Ed. AL Joyner. Oxford University Press, 2000.
Transgenesis Techniques. Principles and Protocols. Edited by: Alan R. Clarke. Humana Press. 2002. (2nd Edition).
Gene Knock-out Protocols. Edited by: Martin J. Tymms and Ismail Kola. Humana Press. 2001.
Embryonic Stem Cells. Methods and Protocols. Edited by: Kursad Turksen. Humana Press. 2002.
Human Molecular Genetics2. T. Strachan i A.P. Read. John Wiley & Sons, Inc., Publication. 1999.

Enllaços web

Gene Therapy Clinical Trials Worldwide www.wiley.co.uk/genmed/clinical
Human Genome Project Information
www.ornl.gov/sci/techresources/human_genome/medicine/genetherapy.shtml
The anatomy of the laboratory mouse jaxmice.jax.org/library/notes/498.html
International Society for Transgenic Technologies
www.transtechsociety.org
Transgenesis en mamíferos
www.cnb.uam.es/~transimp/index2.html
EUMORPHIA
www.eumorphia.org

TBASE (The Transgenic/Targeted Mutation Database)

<http://tbase.jax.org/>

Database of Gene Knockouts

<http://www.bioscience.org/knockout/knockhome.htm>

BioMedNet Mouse Knockout Database

<http://biomednet.com/db/mkmd>

Revistes especialitzades

Nature (www.nature.com)

Nature Medicine (www.nature.com/nm/)

Nature Biotechnology (www.nature.com/nbt/)

Nature Genetics (www.nature.com/ng/)

Proc. Natl. Acad. Sci. USA (www.pnas.org)

Journal Clinical Investigation (www.jci.org)

Cancer Gene Therapy (www.nature.com/cgt)

Current Gene Therapy (bentham.org/cgt)

Gene Therapy (www.nature.com/gt)

Gene Therapy & Molecular Biology www.gtmb.org/index_gtmb.html

Gene Therapy & Regulation www.vspub.com/journals/jn-GenTheReg.html

Human Gene Therapy (www.liebertonline.com/loi/hum)

The Journal of Gene Medicine

www3.interscience.wiley.com/cgi-bin/jhome/10009391

Journal of Molecular Therapy

link.springer-ny.com/link/service/journals/00109

Journal of Controlled Release

www.sciencedirect.com/science/journal/01683659

Journal of Virology (jvi.asm.org)

Molecular Therapy www.sciencedirect.com/science/journal/15250016