

Terapia génica y celular

Código: 101920
Créditos ECTS: 6

2024/2025

| Titulación | Tipo | Curso |
|-----------------------------|------|-------|
| 2501230 Ciencias Biomédicas | OT | 4 |

Contacto

Nombre: María Fatima Bosch Tubert

Correo electrónico: fatima.bosch@uab.cat

Equipo docente

Verónica Jimenez Cenzano

Idiomas de los grupos

Puede consultar esta información al [final](#) del documento.

Prerrequisitos

No existen prerrequisitos para cursar esta asignatura. Sin embargo, es aconsejable para facilitar el buen seguimiento de la materia por parte del/de la alumno/a y el logro de los resultados de aprendizaje planteados que el/la alumno/a tenga conocimientos previos de Biología Celular, Genética, Biología Molecular y Tecnología del DNA Recombinante.

Es aconsejable también que los/las alumnos/as tengan conocimiento de inglés para poder utilizar fuentes de información del campo.

Objetivos y contextualización

Los objetivos de la asignatura de Terapia Génica y Celular se centrarán en proporcionar al/la alumno/a conocimientos en la manipulación génica de las células con fines terapéuticos y tecnologías asociadas. Así, los contenidos de la materia serán: Descripción de la terapia génica *in vivo* y *ex vivo*; estudio de los diferentes vectores utilizados para la transferencia génica, tanto virales como no virales, sus ventajas y desventajas, las vías de administración y las aplicaciones al tratamiento de enfermedades humanas hereditarias y no hereditarias. Descripción de terapia celular. Trasplante de células somáticas diferenciadas (islotos, hepatocitos, médula ósea). Trasplante de células madre pluripotenciales (embrionarias y adultas). Fuentes celulares para la terapia celular. Aplicaciones terapéuticas de la terapia celular. Aspectos de bioseguridad, éticos y legales de la terapia celular en humanos.

Competencias

- Aplicar los conocimientos de tecnologías biomédicas para la descripción de fenómenos o problemas en biología humana o animal, en relación a sus causas, mecanismos y tratamientos.
- Demostrar que conoce y comprende las técnicas relacionadas con las tecnologías genéticas y de la reproducción.
- Introducir cambios en los métodos y los procesos del ámbito de conocimiento para dar respuestas innovadoras a las necesidades y demandas de la sociedad.
- Leer y criticar artículos científicos originales y de revisión en el campo de la biomedicina, y ser capaz de evaluar y elegir las descripciones metodológicas adecuadas para el trabajo de laboratorio biomédico.
- Que los estudiantes hayan demostrado poseer y comprender conocimientos en un área de estudio que parte de la base de la educación secundaria general, y se suele encontrar a un nivel que, si bien se apoya en libros de texto avanzados, incluye también algunos aspectos que implican conocimientos procedentes de la vanguardia de su campo de estudio.
- Que los estudiantes hayan desarrollado aquellas habilidades de aprendizaje necesarias para emprender estudios posteriores con un alto grado de autonomía.
- Que los estudiantes puedan transmitir información, ideas, problemas y soluciones a un público tanto especializado como no especializado.
- Que los estudiantes sepan aplicar sus conocimientos a su trabajo o vocación de una forma profesional y posean las competencias que suelen demostrarse por medio de la elaboración y defensa de argumentos y la resolución de problemas dentro de su área de estudio.
- Que los estudiantes tengan la capacidad de reunir e interpretar datos relevantes (normalmente dentro de su área de estudio) para emitir juicios que incluyan una reflexión sobre temas relevantes de índole social, científica o ética.
- Trabajar como parte de un grupo junto con otros profesionales, comprender sus puntos de vista y cooperar de forma constructiva.

Resultados de aprendizaje

1. Buscar y gestionar la información procedente de diversas fuentes.
2. Correlacionar resultados tecnológicos o diagnósticos con estructuras, mecanismos o fenómenos biológicos patológicos o normales .
3. Explicar la patogenia asociada a los procesos reproductivos.
4. Introducir cambios en los métodos y los procesos del ámbito de conocimiento para dar respuestas innovadoras a las necesidades y demandas de la sociedad.
5. Leer textos especializados tanto en lengua inglesa como en las lenguas propias.
6. Que los estudiantes hayan demostrado poseer y comprender conocimientos en un área de estudio que parte de la base de la educación secundaria general, y se suele encontrar a un nivel que, si bien se apoya en libros de texto avanzados, incluye también algunos aspectos que implican conocimientos procedentes de la vanguardia de su campo de estudio.
7. Que los estudiantes hayan desarrollado aquellas habilidades de aprendizaje necesarias para emprender estudios posteriores con un alto grado de autonomía.
8. Que los estudiantes puedan transmitir información, ideas, problemas y soluciones a un público tanto especializado como no especializado.
9. Que los estudiantes sepan aplicar sus conocimientos a su trabajo o vocación de una forma profesional y posean las competencias que suelen demostrarse por medio de la elaboración y defensa de argumentos y la resolución de problemas dentro de su área de estudio.
10. Que los estudiantes tengan la capacidad de reunir e interpretar datos relevantes (normalmente dentro de su área de estudio) para emitir juicios que incluyan una reflexión sobre temas relevantes de índole social, científica o ética.
11. Reconocer y distinguir los principios éticos y la legislación vigente en relación a la manipulación genética animal y la experimentación animal, la terapia génica y las técnicas de reproducción, en su aplicación a la biomedicina.
12. Trabajar como parte de un grupo junto con otros profesionales, comprender sus puntos de vista y cooperar de forma constructiva.

Contenido

En las clases de teoría se impartirán los siguientes contenidos o temario:

TEMA 1

Bases conceptuales de la Terapia Génica. Terapia Génica in vivo y ex vivo. Introducción a la Terapia Celular.

TEMA 2

Vectores retrovirales derivados del virus de la leucemia murina. Ciclo replicativo de los retrovirus. Obtención de vectores retrovirales. Expresión génica a partir de vectores retrovirales. Aplicaciones.

TEMA 3

Vectores lentivirales (LV). Estructura genética de los lentivirus. Obtención de vectores derivados de lentivirus. Características. Aplicaciones.

TEMA 4

Vectores adenovíricos. (Ad). Estructura y organización genómica de los adenovirus. Obtención de vectores adenovíricos. Características. Aplicaciones. Obtención de vectores de última generación menos inmunogénicos (HD-Ad). ~~Adenovirus oncolíticos.~~

TEMA 5

Vectores adenoasociados (AAV). Biología de los virus adenoasociados. Obtención de vectores recombinantes derivados de virus adenoasociados. Características. ~~Aplicaciones.~~

TEMA 6

Vectores no virales (I). Utilización de liposomas catiónicos en terapia génica. Transferencia génica mediada por polímeros catiónicos. Transferencia génica mediada por receptores.

TEMA 7

Vectores no virales (II). Transferencia de DNA plasmídico en solución a músculo esquelético. Electrotransferencia. Transferencia de DNA plasmídico en solución a hígado mediante procedimientos hidrodinámicos. Aplicaciones.

TEMA 8

ARN de interferencia (*siRNA*). Terapia génica basada en la utilización de *siRNA*. Aplicaciones.

TEMA 9

Modificación génica mediante "*Zinc-finger* nucleasas", otras "nucleasas" y otras "*Meganucleases*". Aplicación en el campo de la terapia génica.

TEMA 10

Terapia Génica *ex vivo*; Células madre hematopoyéticas.

TEMA 11

Introducción a las Células Madre Embrionarias (*ES cells*). Diferenciación de *ES cells*. Aplicaciones clínicas de las *ES cells*.

TEMA 12

Células Madre Adultas y sus aplicaciones.

TEMA 13

Reprogramación y *induced Pluripotent Stem Cells (iPS)*.

TEMA 14

Terapia génica para enfermedades hereditarias monogénicas: Inmunodeficiencias. Enfermedades lisosomales. Fibrosis quística. Enfermedades oculares. Hemofilia. Distrofias musculares. Otras enfermedades.

TEMA 15

Terapia génica para cáncer. Inmunoterapia. Utilización de genes "suicidas". Terapias antiangiogénicas. Utilización de genes supresores de tumores. Utilización de secuencias antisentido. Otras estrategias terapéuticas.

TEMA 16

Terapia génica para diabetes mellitus. Terapia génica para enfermedades cardiovasculares. Terapia génica para enfermedades neurodegenerativas. Terapia génica para enfermedades infecciosas: Sida, Hepatitis. Vacunas de ADN.

TEMA 17

Terapia celular para la regeneración del oso y cartílago.

TEMA 18

Terapia celular para la regeneración de la piel. Terapia celular para la regeneración de enfermedades oculares.

TEMA 19

Terapia celular para Parkinson y otras enfermedades del Sistema Nervioso Central.

TEMA 20

Terapia celular para la diabetes y enfermedades cardiovasculares.

TEMA 21

Protocolos clínicos de terapia génica y/o celular. Fases. Regulación Europea. Regulación en USA. Aspectos éticos de la terapia génica y celular.

En las clases de prácticas se plantean tres ejercicios. En el primero se trata de un trabajo de diseño de una estrategia de terapia génica o celular por una enfermedad desde la prueba de concepto hasta los estudios clínicos con pacientes humanos. Sirve como trabajo de síntesis de todos los conocimientos explicados en las clases teóricas. En el segundo se trata de tener una experiencia práctica de la utilización de animales en los estudios de terapia génica y celular. Vemos métodos de administración de diferentes vectores. En el tercer ejercicio les mostramos a los alumnos como realizar una hepatectomía parcial para terapias genéticas dirigidas a hígado.

Contenido de las prácticas de laboratorio:

- Diseño de una estrategia de terapia génica o celular. Discusión de las diversas opciones.
- Introducción a la utilización de animales en los estudios de terapia génica y celular.
- Métodos y vías de administración de vectores virales y no virales.

**A menos que las restricciones impuestas por las autoridades sanitarias obliguen a una priorización o reducción de estos contenidos.*

Actividades formativas y Metodología

| Título | Horas | ECTS | Resultados de aprendizaje |
|------------------|-------|------|---------------------------|
| Tipo: Dirigidas | | | |
| Clases prácticas | 12 | 0,48 | 11, 12 |
| Clases teóricas | 34 | 1,36 | 3, 5, 12 |

| | | | |
|-------------------------------|----|------|-----------|
| Presentación oral de trabajos | 9 | 0,36 | 3, 11, 12 |
| Tipo: Supervisadas | | | |
| Tutorías | 5 | 0,2 | 11, 12 |
| Tipo: Autónomas | | | |
| Presentación oral de trabajos | 10 | 0,4 | 5, 1, 12 |
| Tiempo de estudio individual | 74 | 2,96 | 5, 11, 1 |

La asignatura de Terapia Génica y Celular consta de clases teóricas, clases prácticas, y presentaciones orales de trabajos tutorizados. Las actividades formativas de la asignatura se complementan.

Clases de Teoría

El contenido del programa de teoría será impartido principalmente por el/la profesor/a en forma de clases magistrales con soporte audiovisual. Las presentaciones utilizadas en clase por el/la profesor/a estarán a disposición de los/las alumnos/as en el Campus Virtual/Moodle de la asignatura. Estas sesiones expositivas constituirán la parte más importante del apartado de teoría. Se aconseja que los/las alumnos/as consulten de forma regular los libros y enlaces recomendados en el apartado de Bibliografía de esta guía docente y en el Campus Virtual/Moodle para consolidar y clarificar, si es necesario, los contenidos explicados en clase.

Prácticas de laboratorio

Las clases prácticas están diseñadas para que los/as alumnos/as integren de una manera experiencial los conocimientos impartidos en las clases teóricas, tengan una experiencia directa del manejo de animales de experimentación en estos estudios y vivan la emoción de la investigación.

Se trata de 3 sesiones de 3h cada una (de 15h a 19h), trabajando en grupos de 2 personas bajo la supervisión de un/una profesor/a responsable. Las fechas de los diferentes grupos de prácticas y los laboratorios se podrán consultar con la suficiente antelación en el Campus Virtual/Moodle de la asignatura.

La asistencia a las clases prácticas es obligatoria.

El Manual de Prácticas estará disponible en el Campus Virtual/Moodle. En cada sesión de prácticas, es obligatorio que el/la alumno/a lleve: su propia bata, un bolígrafo y el Manual de Prácticas.

Presentaciones orales de trabajos

Los/las alumnos/as prepararán y realizarán una presentación oral, ante la clase, de un trabajo de investigación actual, relacionado con la terapia génica y celular y publicado en revistas científicas internacionales. La preparación de esta exposición será en grupos de 2 alumnos/as y será tutorizada. La exposición oral será de 10 minutos, repartidos equitativamente entre los integrantes del grupo, más 5 minutos para preguntas (total 15 minutos). El objetivo es que los/las alumnos/as se habitúen a la búsqueda de publicaciones científicas, su lectura e interpretación, y en su caso visión crítica, de gráficas, tablas y resultados, de manera guiada. Por otra parte, los/as alumnos/as también profundizarán en las aplicaciones actuales de la tecnología de animales transgénicos.

Tutorías

Las presentaciones orales de trabajos están tutorizadas. Además, a petición de los/las alumnos/as se realizarán tutorías individuales a lo largo de la asignatura. El objetivo de estas sesiones será el de resolver dudas, repasar conceptos básicos y orientar sobre las fuentes de información consultadas y sobre cómo hacer una exposición científica en público.

Encuestas UAB

Se destinarán 15 minutos de una clase para la respuesta de las encuesta institucionales de la UAB.

Nota: se reservarán 15 minutos de una clase dentro del calendario establecido por el centro o por la titulación para que el alumnado rellene las encuestas de evaluación de la actuación del profesorado y de evaluación de la asignatura o módulo.

Evaluación

Actividades de evaluación continuada

| Título | Peso | Horas | ECTS | Resultados de aprendizaje |
|--|------|-------|------|------------------------------------|
| Asistencia a la presentación oral de trabajos de investigación | 10% | 0 | 0 | 2, 5, 11, 1 |
| Ejercicio de autoaprendizaje | 10% | 1 | 0,04 | 2, 4, 5, 11, 1, 9, 10, 8, 7, 6, 12 |
| Examen de las clases de prácticas de laboratorio | 15% | 1 | 0,04 | 2, 5, 11, 1, 12 |
| Examen teórico final | 50% | 3 | 0,12 | 2, 3, 5, 11, 1 |
| Presentación oral de trabajos de investigación | 15% | 1 | 0,04 | 2, 4, 5, 11, 1, 9, 10, 8, 7, 6, 12 |

Para superar la asignatura será imprescindible obtener una calificación final igual o superior a 5 puntos (sobre 10) y haber asistido a las prácticas. Las actividades de evaluación programadas son:

1.- Un examen teórico final

Contará un 50% de la nota final (5 puntos sobre 10). Consiste en un examen final, con preguntas tipo test (Verdadero o Falso), referentes a la materia impartida en las clases teóricas. Se requerirá obtener una nota mínima de 2,5 puntos sobre 5 en este examen para aprobar la asignatura.

Habrà un examen teórico de recuperación de la asignatura, con las mismas características que el examen teórico final, para los/las alumnos/as que no lo hayan superado.

2.- Un examen de las clases de prácticas de laboratorio

Contará un 15% de la nota final (1,5 puntos sobre 10). Consiste en un examen con preguntas tipo test (Verdadero o Falso). Se realizará el mismo día que se realiza el examen de teoría.

Para aprobar la asignatura, la asistencia a las clases prácticas es obligatoria.

3.- Ejercicio de autoaprendizaje

Contará un 10% de la nota final (1 punto sobre 10), Consiste en un ejercicio que el/la alumno/a deberá desarrollar por su cuenta. Estará disponible en el Campus Virtual a finales de abril.

4.- Presentación oral de trabajos de investigación

Contará un 15% de la nota final (1,5 puntos sobre 10). Se evaluará la presentación oral del trabajo a cada alumno/a de forma individual, así como la búsqueda bibliográfica y el documento de apoyo audiovisual que hayan preparado en grupo.

5.- Asistencia a la presentación oral de trabajos de investigación

Contará hasta un 10% de la nota final (1 punto sobre 10). Se evaluará tanto la asistencia como la participación en las discusiones científicas de las sesiones, siguiendo el baremo:

Asistencia 90-100% = 1 punto

Asistencia 80-89% = 0,8 puntos

Asistencia 70-79% = 0,7 puntos

Asistencia 60-69% = 0,6 puntos

Asistencia 50-59% = 0,5 puntos

Asistencia 0-49% = 0 puntos

6.-La revisión de la cualificación de los exámenes de teoría y prácticas se realizará de forma presencial un día y una hora comunicados via campus virtual, unos días después de la publicación de las notas.

Evaluación única: El examen de teoría y prácticas se realizará el mismo día. La asistencia a las clases de prácticas es obligatoria. Para la presentación oral de trabajos de investigación, en el caso de que TODO EL GRUPO que realiza la presentación esté acogido a la evaluación única, el grupo podrá realizar la presentación oral el mismo día del examen teórico y práctico, una vez finalizado el examen. Los alumnos que se acojan a evaluación única y que no puedan asistir a las presentaciones orales, podrán conseguir de forma opcional el punto de asistencia a las presentaciones orales de trabajos de investigación realizando un análisis de un artículo o una actividad relacionada con la temática de la asignatura, el mismo día del examen una vez finalizado el examen.

Bibliografía

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.

5- Cell Therapy. D. Garcia-Olmo, J.M. Garcia-Verdugo, J. Alemany, J.A. Gutierrez-Fuentes. McGraw-Hill Interamericana. 2008.

6- Gene and Cell Therapy. Therapeutic Mechanisms and Strategies. Second edition, Revised and Expanded. N.S. Templeton. Marcel Dekker, Inc. 2004.

Software

No procede

Lista de idiomas

| Nombre | Grupo | Idioma | Semestre | Turno |
|---------------------------------|-------|-----------------|----------------------|--------------|
| (PLAB) Prácticas de laboratorio | 441 | Catalán/Español | segundo cuatrimestre | tarde |
| (PLAB) Prácticas de laboratorio | 442 | Catalán/Español | segundo cuatrimestre | tarde |
| (PLAB) Prácticas de laboratorio | 443 | Catalán/Español | segundo cuatrimestre | tarde |
| (PLAB) Prácticas de laboratorio | 444 | Catalán/Español | segundo cuatrimestre | tarde |
| (PLAB) Prácticas de laboratorio | 445 | Catalán/Español | segundo cuatrimestre | tarde |
| (PLAB) Prácticas de laboratorio | 446 | Catalán/Español | segundo cuatrimestre | tarde |
| (SEM) Seminarios | 441 | Catalán/Español | segundo cuatrimestre | mañana-mixto |
| (TE) Teoría | 44 | Catalán/Español | segundo cuatrimestre | mañana-mixto |

PROVISIO