

## Terapia génica y celular

Código: 101969  
Créditos ECTS: 6

2024/2025

Titulación	Tipo	Curso
2500890 Genètica	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 alumno 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 (islotes, 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

- Actuar con responsabilidad ética y con respeto por los derechos y deberes fundamentales, la diversidad y los valores democráticos.
- Actuar en el ámbito de conocimiento propio evaluando las desigualdades por razón de sexo/género.
- Actuar en el ámbito de conocimiento propio valorando el impacto social, económico y medioambiental.
- Asumir un compromiso ético.
- Capacidad de análisis y síntesis.
- Definir la mutación y sus tipos, y determinar los niveles de daño génico, cromosómico y genómico en el material hereditario de cualquier especie, tanto espontáneo como inducido, y evaluar sus consecuencias.
- Demostrar que comprende las bases genéticas del cáncer.
- Demostrar sensibilidad en temas medioambientales, sanitarios y sociales.
- Describir e interpretar los principios de la transmisión de la información genética a través de las generaciones.
- Describir la organización, evolución, variación interindividual y expresión del genoma humano.
- Introducir cambios en los métodos y los procesos del ámbito de conocimiento para dar respuestas innovadoras a las necesidades y demandas de la sociedad.
- Percibir la importancia estratégica, industrial y económica, de la genética y genómica en las ciencias de la vida, la salud y la sociedad.
- Saber comunicar eficazmente, oralmente y por escrito.
- Tomar la iniciativa y mostrar espíritu emprendedor.

## Resultados de aprendizaje

1. Actuar con responsabilidad ética y con respeto por los derechos y deberes fundamentales, la diversidad y los valores democráticos.
2. Actuar en el ámbito de conocimiento propio evaluando las desigualdades por razón de sexo/género.
3. Actuar en el ámbito de conocimiento propio valorando el impacto social, económico y medioambiental.
4. Asumir un compromiso ético.
5. Demostrar que comprende las bases genéticas del cáncer.
6. Demostrar sensibilidad en temas medioambientales, sanitarios y sociales.
7. Desarrollar la capacidad de análisis y síntesis.
8. Describir la estructura y variación del genoma humano desde una perspectiva funcional, clínica y evolutiva.
9. Determinar la base genética y calcular el riesgo de recurrencia de enfermedades humanas.
10. Introducir cambios en los métodos y los procesos del ámbito de conocimiento para dar respuestas innovadoras a las necesidades y demandas de la sociedad.
11. Reconocer la importancia estratégica de los avances genéticos en el ámbito de la salud humana, especialmente las aplicaciones de la genómica a la medicina personalizada, la farmacogenómica o la nutrigenómica.
12. Reconocer las anomalías génicas, cromosómicas y genómicas humanas y evaluar sus consecuencias clínicas.
13. Saber comunicar eficazmente, oralmente y por escrito.
14. Tomar la iniciativa y mostrar espíritu emprendedor.

## 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 adenoviricos. (Ad). Estructura y organización genómica de los adenovirus. Obtención de vectores adenoviricos. 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. Transferenciagénica 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	4, 7, 13, 6, 14
Clases teóricas	34	1,36	4, 7, 13, 6, 14
Presentación oral de trabajos	9	0,36	4, 7, 13, 6, 14
Tipo: Supervisadas			
Tutorías	5	0,2	4, 7, 13, 6, 14
Tipo: Autónomas			
Presentación oral de trabajos	10	0,4	4, 7, 13, 6, 14

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 alumnos en el Campus Virtual/Moodle de la asignatura. Estas sesiones expositivas constituirán la parte más importante del apartado de teoría. Se aconseja que los/as 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/las 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 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/las 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 encuestas 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	4, 7, 13, 6, 14
Ejercicio de autoaprendizaje	10%	1	0,04	4, 7, 13, 6, 14
Examen de las clases de prácticas de laboratorio	15%	1	0,04	4, 7, 13, 6, 14
Examen teórico final	50%	3	0,12	4, 7, 13, 6, 8, 9, 12, 11, 5, 14
Presentación oral de trabajos de investigación	15%	1	0,04	1, 4, 7, 13, 6, 10, 3, 2, 14

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.

La asistencia a las sesiones prácticas (o salidas de campo) es obligatoria". El alumnado obtendrá la calificación de "No Avaluable" cuando su ausencia sea superior al 20% de las sesiones programadas.

### 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. 2<sup>nd</sup> 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

PROVISIONAL