

Transgénesis y Terapia Génica: del Animal a la Clínica

Código: 42891
Créditos ECTS: 9

2025/2026

Titulación	Tipo	Curso
Biochemistry, Molecular Biology and Biomedicine	OP	1

Contacto

Nombre: Maria Fatima Bosch Tubert

Correo electrónico: fatima.bosch@uab.cat

Equipo docente

Ana Maria Carretero Romay

Marc Navarro Beltran

Jesus Ruberte Paris

Miguel Chillón Rodriguez

Victor Nacher Garcia

Maria Assumpcio Bosch Merino

Veronica Jimenez Cenzano

Idiomas de los grupos

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

Prerrequisitos

Graduado/a en el campo de Ciencias de la Vida, por ejemplo:
Biología, Bioquímica, Biomedicina, Biotecnología, Farmacia, Genética, Medicina, Veterinaria.

Objetivos y contextualización

Los y las estudiantes ampliarán sus conocimientos en los siguientes temas:

- Tecnologías utilizadas para la generación de animales transgénicos que sobre-expresan transgenes o que presenten mutaciones en genes concretos del genoma (animales knockout y Knockin).
- Aplicaciones de la transgénesis animal en biomedicina, biotecnología y producción animal.
- Legislación actual para la experimentación animal.
- Anatomía y embriología del ratón y estudio del desarrollo embrionario de órganos para el análisis de alteraciones morfológicas y anatómicas en modelos de ratón modificados genéticamente.
- Terapia génica in vivo y ex vivo. Estudio de los diferentes tipos de vectores (virales y no virales) utilizados

para la transferencia génica, y sus ventajas y limitaciones. Rutas de administración y aplicaciones de la terapia génica en el tratamiento de enfermedades humanas hereditarias y no hereditarias.

Resultados de aprendizaje

1. CA11 (Competencia) Trasladar las técnicas de modificación de los seres vivos o parte de ellos para mejorar procesos y productos farmacéuticos y biotecnológicos, o para desarrollar nuevos productos en el ámbito de la biomedicina.
2. CA12 (Competencia) Trabajar en equipo en el planteamiento de proyectos en el ámbito de la transgénesis y la terapia génica asociados a los retos actuales dentro del ámbito de la bioquímica, la biología molecular y la biomedicina y con responsabilidad ética y con respeto por los derechos y deberes fundamentales, la diversidad y los valores democráticos.
3. CA12 (Competencia) Trabajar en equipo en el planteamiento de proyectos en el ámbito de la transgénesis y la terapia génica asociados a los retos actuales dentro del ámbito de la bioquímica, la biología molecular y la biomedicina y con responsabilidad ética y con respeto por los derechos y deberes fundamentales, la diversidad y los valores democráticos.
4. KA16 (Conocimiento) Enumerar los fundamentos moleculares de la terapia génica *in vivo* y *ex vivo* en el ámbito de la biomedicina.
5. KA17 (Conocimiento) Identificar la anatomía y la embriología del ratón, así como las alteraciones morfológicas en los manipulados genéticamente.
6. KA18 (Conocimiento) Relacionar las diferentes tecnologías de obtención de animales transgénicos y de terapia génica *in vivo* y *ex vivo*, así como las implicaciones éticas de los aspectos relacionados con dicho ámbito.
7. KA18 (Conocimiento) Relacionar las diferentes tecnologías de obtención de animales transgénicos y de terapia génica *in vivo* y *ex vivo*, así como las implicaciones éticas de los aspectos relacionados con dicho ámbito.
8. SA16 (Habilidad) Relacionar las diferentes metodologías usadas para la obtención de animales transgénicos que permiten la sobreexpresión, bloqueo o modificación de genes endógenos de manera ubicua o específica de tejido.
9. SA17 (Habilidad) Utilizar de manera adecuada los distintos tipos de vectores usados para la transferencia génica dentro de un contexto de utilización de la terapia génica.
10. SA18 (Habilidad) Analizar adecuadamente las alteraciones moleculares o fisiológicas de un animal transgénico, así como los resultados de los ensayos clínicos de terapia génica en humanos en el ámbito de la biomedicina.

Contenido

Ensayos clínicos en curso para enfermedades específicas: hemofilia, β -talasemia, inmunodeficiencias primarias, fibrosis quística, distrofia muscular de Duchenne, enfermedades de almacenamiento lisosomal, enfermedades neurodegenerativas, ceguera, cáncer, etc. A Bosch, M Chillon

PARTE 1. FENOTIPAJE MORFOGÓGICO DEL RATÓN

Por J. Ruberte, A. Carretero, M. Navarro i V. Nacher. Dept. Sanidad y Anatomía Animales, UAB.

1. Terminología Anatómica y Regiones Corporales
2. Desarrollo Embrionario y Placenta
3. Osteología
4. Artrología y Miología
5. Sistema Cardiovascular

6. Aparato respiratorio
7. Aparato digestivo
8. Órganos urinarios
9. Órganos genitales del Macho y de la Hembra
10. Sistema Nervioso
11. Órgano de la visión
12. Órgano vestibuloclear

PARTE 2- ANIMALES TRANSGÉNICOS Y TERAPIA GÉNICA

Profesores: F. Bosch and Verónica Jiménez.

Dept. Bioquímica y Biología Molecular, UAB

Parte 2.1: Animales Transgénicos

- 1- Generación de animales transgénicos por microinyección pronuclear. Aplicaciones.
- 2- Generación de animales *Knockout/in* constitutivos o condicionales (específicos de tejido y/o inducibles) por *Gene Targeting* en células madre embrionarias. Aplicaciones.
- 3- Edición Genómica mediante *ZFNs*, *TALENs* y *CRISPR/Cas9* para la generación de animales *Knockout/in*.
- 4- Animales clónicos por transferencia nuclear. Aplicaciones.
- 5- Consorcios Internacionales para la mutación del genoma de ratón y análisis fenotípico: Clínicas de Ratón.
- 6- Gestión de colonias de ratones transgénicos. Legislación en experimentación animal.
- 7- Aplicaciones de los animales transgénicos en el estudio de diabetes, obesidad, enfermedades hereditarias...

Parte 2.2. Terapia Génica

- 1- Introducción a la Terapia Génica.
- 2- Características de los vectores Adenovirales. Aplicaciones.
- 3- Características de los vectores recombinantes derivados de virus Adenoasociados. Aplicaciones en Terapia Génica para la Diabetes Mellitus.
- 4- Terapia Génica *Ex vivo*: vectores retrovirales y lentivirus. Aplicaciones.
- 5- Terapia Génica No Viral.
- 6- Terapia Génica para enfermedades hereditarias. Terapia Génica para Mucopolisacaridosis (MPS).
- 7- Edición Genómica *In vivo*.

PARTE 3. INTRODUCCIÓN Y DISEÑO DE ENSAYOS CLÍNICOS DE TERAPIA GÉNICA PARA EL TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES HUMANAS

Por M. Chillon y A. Bosch, Departamento de Bioquímica y Biología Molecular, UAB

Ponente invitado: Ramon Alemany, Institut Català d'Oncologia (ICO)

1- Introducción a los ensayos clínicos. Factores a considerar en el diseño de ensayos clínicos de terapia génica. M Chillón

2- Desarrollo y producción de vectores para ensayos clínicos de terapia génica. M Chillón

3- Reglamento sobre el uso de organismos genéticamente modificados. Nivel de bioseguridad y calidad de producción (condiciones GMP y GLP). M Chillón

4- Vectores adeno-associados en ensayos clínicos. Aumento de la especificidad del tejido utilizando vectores AAV pseudotipados y promotores específicos. Respuesta inmune. A Bosch

5- Ensayos clínicos que utilizan vectores derivados del virus del herpes simple. A Bosch

6- Ventajas y desventajas de los vectores retrovirales y lentivirales en ensayos clínicos. A Bosch

7- Ensayos clínicos en curso para enfermedades específicas: hemofilia, β-talasemia, inmunodeficiencias primarias, fibrosis quística, distrofia muscular de Duchenne, enfermedades de almacenamiento lisosomal, enfermedades neurodegenerativas, ceguera, cáncer, etc. A Bosch, M Chillón

Actividades formativas y Metodología

Título	Horas	ECTS	Resultados de aprendizaje
Tipo: Dirigidas			
Clases magistrales y prácticas	55	2,2	CA11, KA16, KA17, KA18, SA16, SA17, SA18, CA11
Tipo: Supervisadas			
Preparación de trabajos y prácticas	44	1,76	CA11, KA16, KA17, KA18, SA16, SA17, SA18, CA11
Tipo: Autónomas			
Preparación de exámenes y búsqueda bibliográfica	120	4,8	CA11, CA12, KA16, KA17, KA18, SA16, SA17, SA18, CA11

Combinación de clases, prácticas de laboratorio y presentación de un proyecto supervisado por el profesor o la profesora.

Teoría 72%

Laboratorio 11%

Trabajo supervisado 14%

Tutorías 3%

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 prácticas (parte 1)	8%	0	0	KA17, SA18
Asistencia y participación activa en clase	10%	0	0	CA11, KA16, KA17, KA18, SA16, SA17, SA18
Defensa oral de trabajos (parte 2)	32%	2	0,08	CA11, CA12, KA16, KA17, KA18, SA16, SA17, SA18
Pruebas teórico-prácticas (parte 1 y 3)	50%	4	0,16	CA11, KA16, KA17, KA18, SA16, SA17, SA18

La evaluación del módulo estará basada en el trabajo realizado por los y las estudiantes, la asistencia y participación en clase y en las prácticas, la presentación oral de un artículo científico y la nota de los exámenes.

Para participar en la recuperación, el alumnado debe haber estado previamente evaluado en un conjunto de actividades el peso de las cuales equivalga a un mínimo de dos terceras partes de la calificación total de la asignatura o módulo. Por tanto, el alumnado obtendrá la calificación de "No Avaluable" cuando las actividades de evaluación realizadas tengan una ponderación inferior al 67% en la calificación final.

Importante: Si se detecta plagio en alguno de trabajos entregados podrá comportar que el o la alumno/a suspenda el módulo entero.

Esta asignatura/módulo no contempla el sistema de evaluación única.

Bibliografía

Bibliografía

- 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 Verlay 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.

Morphological Mouse Phenotyping: Anatomy, Histology and Imaging. J. Ruberte, A. Carretero and M. Navarro. Ed. Medica Panamericana, 2016.

X-Ray Annotation Mouse Atlas. J Ruberte et al. IMPC (Doctor Herriot SL), 2021.

Web links

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>

Specialized journals

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.vsppub.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

Software

No procede

Grupos e idiomas de la asignatura

La información proporcionada es provisional hasta el 30 de noviembre de 2025. A partir de esta fecha, podrá consultar el idioma de cada grupo a través de este [enlace](#). Para acceder a la información, será necesario introducir el CÓDIGO de la asignatura

Nombre	Grupo	Idioma	Semestre	Turno
(PLABm) Prácticas de laboratorio (máster)	1	Inglés	primer cuatrimestre	mañana-mixto
(TEm) Teoría (máster)	1	Inglés	primer cuatrimestre	mañana-mixto