

Titulació	Tipus	Curs
Biotecnologia Avançada	OP	1

Professor/a de contacte

Nom: Maria Fatima Bosch Tubert

Correu electrònic: fatima.bosch@uab.cat

Equip docent

Ana Maria Carretero Romay

Marc Navarro Beltran

Jesus Ruberte Paris

Miguel Chillón Rodriguez

Victor Nacher Garcia

Maria Assumpcio Bosch Merino

Veronica Jimenez Cenzano

Idiomes dels grups

Podeu consultar aquesta informació al [final](#) del document.

Prerequisits

Graduat o graduada en el camp de Ciències de la Vida, per exemple:
Biologia, Bioquímica, Biomedicina, Biotecnologia, Farmacia, Genètica, Medicina, Veterinària.

Objectius

Els i les alumnes ampliaran els seus coneixements en els següents temes:

- Tecnologies utilitzades per la generació d'animals transgènics que sobreexpressin transgens o que presentin mutacions a gens concrets del genoma (animals knockout i knockin).
- Aplicacions de la transgènesi animal en biomedicina, biotecnologia i producció animal.
- Legislació actual per a l'experimentació animal.
- Anatomia i embriologia del ratolí i estudi del desenvolupament embrionari d'òrgans per l'anàlisi d'alteracions morfològiques i anatòmiques en models de ratolí modificats genèticament.

- Teràpia gènica *in vivo* i *ex vivo*. Estudi dels diferents tipus de vectors (virals i no virals) utilitzats per la transferència gènica, i les seves avantatges i limitacions. Rutes d'administració i aplicacions de la teràpia gènica en el tractament de malalties humanes hereditàries i no hereditàries.

Resultats d'aprenentatge

1. CA13 (Competència) Traslladar les tècniques de modificació dels éssers vius o de part d'aquests per millorar processos i productes farmacèutics i biotecnològics, o per desenvolupar nous productes.
2. CA13 (Competència) Traslladar les tècniques de modificació dels éssers vius o de part d'aquests per millorar processos i productes farmacèutics i biotecnològics, o per desenvolupar nous productes.
3. CA14 (Competència) Treballar en equip en el plantejament de projectes en l'àmbit de la transgènesi i la teràpia gènica associats als reptes actuals dins de l'àmbit de la bioquímica, la biologia molecular i la biomedicina i amb responsabilitat ètica i amb respecte pels drets i deures fonamentals, la diversitat i els valors democràtics.
4. CA14 (Competència) Treballar en equip en el plantejament de projectes en l'àmbit de la transgènesi i la teràpia gènica associats als reptes actuals dins de l'àmbit de la bioquímica, la biologia molecular i la biomedicina i amb responsabilitat ètica i amb respecte pels drets i deures fonamentals, la diversitat i els valors democràtics.
5. KA13 (Coneixement) Enumerar els fonaments moleculars de la teràpia gènica *in vivo* i *ex vivo*.
6. KA14 (Coneixement) Identificar l'anatomia i l'embriologia del ratolí, així com les alteracions morfològiques en els individus manipulats genèticament.
7. KA15 (Coneixement) Identificar les diferents tecnologies d'obtenció d'animals transgènics i de teràpia gènica *in vivo* i *ex vivo* i les implicacions ètiques dels aspectes relacionats amb aquest àmbit.
8. SA14 (Habilitat) Relacionar les diferents metodologies usades per a l'obtenció d'animals transgènics que permeten la sobreexpressió, bloqueig o modificació de gens endògens de forma ubíqua o específica de teixit.
9. SA15 (Habilitat) Fer servir de manera adequada els diferents tipus de vectors utilitzats per a la transferència gènica dins d'un context d'ús de la teràpia gènica.
10. SA16 (Habilitat) Analitzar adequadament les alteracions moleculars o fisiològiques d'un animal transgènic, així com els resultats dels assaigs clínics de teràpia gènica en humans.

Continguts

PART 1. FENOTIPATGE MORFOGÈNIC DEL RATOLÍ

Per J. Ruberte, A. Carretero, M. Navarro i V. Nacher. Dept. Sanitat i Anatomia Animals, UAB.

1. Terminologia Anatòmica i Regions Corporals
2. Desenvolupament i Placenta
3. Osteologia
4. Artrologia i Miologia
5. Sistema cardiovascular
6. Aparell respiratori
7. Aparell digestiu
8. Òrgans urinaris
9. Òrgans genitals del Mascle i de la Femella

10. Sistema Nerviós

11. Òrgan de la visió

12. Òrgan vestibulococlear

PART 2: ANIMALS TRANSGÈNICS I TERÀPIA GÈNICA

Professors: F. Bosch and Verónica Jiménez.

Dept de Bioquímica i Biologia Molecular, UAB

Part 2.1: Animals Transgènics:

- 1- Generació d'animals transgènics per microinjecció pronuclear. Aplicacions.
- 2- Generació d'animals *Knockout* /*in* constitutius o condicionals (específics de teixit i / o induïbles) per *Gene Targeting* en cèl·lules mare embrionàries. Aplicacions.
- 3- Edició Genòmica mitjançant *ZFNs*, *TALENs* i *CRISPR/Cas9* per a la generació d'animals *Knockout/in*.
- 4- Animals clònics per transferència nuclear. Aplicacions.
- 5- Consorcis Internacionals per a la mutació del genoma de ratolí i anàlisi fenotípic: Clíniques de Ratolí.
- 6- Gestió de colònies de ratolins transgènics. Legislació en experimentació animal.
- 7- Aplicacions dels animals transgènics en l'estudi de diabetis, obesitat, malalties hereditàries...

Part 2.2. Teràpia Gènica:

- 1- Introducció a la Teràpia Gènica.
- 2- Característiques dels vectors Adenovirals. Aplicacions.
- 3- Característiques dels vectors recombinants derivats de virus adenoassociats. Aplicacions en Teràpia Gènica per a la Diabetis Mellitus.
- 4- Teràpia Gènica *Ex vivo*: vectors retrovirals i lentivirus. Aplicacions.
- 5- Teràpia Gènica No Viral.
- 6- Teràpia Gènica per a malalties hereditàries. Teràpia Gènica per Mucopolisacaridosis (MPS).
- 7- Edició Genòmica *In vivo*.

PART 3. INTRODUCCIÓ I DISSENY D'ASSAJOS CLÍNICS DE TERÀPIA GÈNICA PER AL TRACTAMENT DE MALALTIES HUMANES

Per M. Chillon i A. Bosch, Departament de Bioquímica i Biologia Molecular, UAB

Ponent convidat: Ramon Alemany, Institut Català d'Oncologia (ICO)

- 1- Introducció als assaigs clínics. Factors a considerar en el disseny d'assajos clínics de teràpia gènica. M Chillon
- 2- Desenvolupament i producció de vectors per a assajos clínics de teràpia gènica. M Chillon

3- Reglament sobre l'ús d'organismes genèticament modificats. Nivell de bioseguretat i qualitat de producció (condicions GMP i GLP). M Chillon

4- Vectors adeno-associats en assajos clínics. Augment de l'especificitat del teixit utilitzant vectors AAV pseudotipats i promotors específics. Resposta immune. A Bosch

5- Assaigs clínics que utilitzen vectors derivats del virus de l'herpes simple. A Bosch

6- Avantatges i desavantatges dels vectors retrovirals i lentivirals en ass

PART 1. FENOTIPATGE MORFOGÈNIC DEL RATOLÍ

Per J. Ruberte, A. Carretero, M. Navarro i V. Nacher. Dept. Sanitat i Anatomia Animals, UAB.

1. Terminologia Anatòmica i Regions Corporals

2. Desenvolupament i Placenta

3. Osteologia

4. Artrologia i Miologia

5. Sistema cardiovascular

6. Aparell respiratori

7. Aparell digestiu

8. Òrgans urinaris

9. Òrgans genitals del Mascle i de la Femella

10. Sistema Nerviós

11. Òrgan de la visió

12. Òrgan vestibulococlear

PART 2: ANIMALS TRANSGÈNICS I TERÀPIA GÈNICA

Professors: F. Bosch, A. Pujol, I. Elias, M. Garcia and Verónica Jiménez.

Dept de Bioquímica i Biologia Molecular, UAB

Part 2.1: Animals Transgènics:

1- Generació d'animals transgènics per microinjecció pronuclear. Aplicacions.

2- Generació d'animals *Knockout* /*in* constitutius o condicionals (específics de teixit i / o induïbles) per *Gene Targeting* en cèl·lules mare embrionàries. Aplicacions.

3- Edició Genòmica mitjançant *ZFNs*, *TALENs* i *CRISPR/Cas9* per a la generació d'animals *Knockout/in*.

4- Animals clònics per transferència nuclear. Aplicacions.

5- Consorcis Internacionals per a la mutació del genoma de ratolí i anàlisi fenotípic: Clíniques de Ratolí.

6- Gestió de colònies de ratolins transgènics. Legislació en experimentació animal.

7- Aplicacions dels animals transgènics en l'estudi de diabetis, obesitat, malalties hereditàries...

Part 2.2. Terajos clínics. A Bosch

7- Assaigs clínics en curs per a malalties específiques: hemofília, β -talassèmia, immunodeficiències primàries, fibrosi quística, distròfia muscular de Duchenne, malalties d'emmagatzematge lisosomal, malalties neurodegeneratives, ceguesa, càncer, etc. A Bosch, M Chillon

àpia Gènica:

1- Introducció a la Teràpia Gènica.

2- Característiques dels vectors Adenovirals. Aplicacions.

3- Característiques dels vectors recombinants derivats de virus adenoassociats. Aplicacions en Teràpia Gènica per a la Diabetis Mellitus.

4- Teràpia Gènica *Ex vivo*: vectors retrovirals i lentivirus. Aplicacions.

5- Teràpia Gènica No Viral.

6- Teràpia Gènica per a malalties hereditàries. Teràpia Gènica per Mucopolisacaridosis (MPS).

7- Edició Genòmica *In vivo* mitjançant *Zing-Finger nucleases (ZFNs)*

PART 3. INTRODUCCIÓ I DISSENY D'ASSAJOS CLÍNICS DE TERÀPIA GÈNICA PER AL TRACTAMENT DE MALALTIES HUMANES

Per M. Chillon i A. Bosch, Departament de Bioquímica i Biologia Molecular, UAB

Ponent convidat: Ramon Alemany, Institut Català d'Oncologia (ICO)

1- Introducció als assaigs clínics. Factors a considerar en el disseny d'assajos clínics de teràpia gènica. M Chillon

2- Desenvolupament i producció de vectors per a assajos clínics de teràpia gènica. M Chillon

3- Reglament sobre l'ús d'organismes genèticament modificats. Nivell de bioseguretat i qualitat de producció (condicions GMP i GLP). M Chillon

4- Vectors adeno-associats en assajos clínics. Augment de l'especificitat del teixit utilitzant vectors AAV pseudotipats i promotors específics. Resposta immune. A Bosch

5- Assaigs clínics que utilitzen vectors derivats del virus de l'herpes simple. A Bosch

6- Avantatges i desavantatges dels vectors retrovirals i lentivirals en assajos clínics. A Bosch

7- Assaigs clínics en curs per a malalties específiques: hemofília, β -talassèmia, immunodeficiències primàries, fibrosi quística, distròfia muscular de Duchenne, malalties d'emmagatzematge lisosomal, malalties neurodegeneratives, ceguesa, càncer, etc. A Bosch, M Chillon

Activitats formatives i Metodologia

Títol	Hores	ECTS	Resultats d'aprenentatge
-------	-------	------	--------------------------

Tipus: Dirigides

Classes magistrals i pràctiques	55	2,2	CA13, KA13, KA14, KA15, SA14, SA16
Tipus: Supervisades			
Preparació de treballs i pràctiques	44	1,76	CA14, KA15, SA15, SA16
Tipus: Autònomes			
Preparació d'Exàmens i recerca bibliogràfica	120	4,8	CA13, KA13, KA14, SA14, SA16

Combinació de classes, pràctiques de laboratori i presentació d'un projecte supervisat pel professor o la professora.

Teoria 72%

Laboratori 11%

Treball supervisat 14%

Tutories 3%

Enquestes UAB

Es destinaran 15 minuts d'una classe per a la resposta de les enquestes institucionals de la UAB.

Nota: es reservaran 15 minuts d'una classe, dins del calendari establert pel centre/titulació, perquè els alumnes completin les enquestes d'avaluació de l'actuació del professorat i d'avaluació de l'assignatura.

Avaluació

Activitats d'avaluació continuada

Títol	Pes	Hores	ECTS	Resultats d'aprenentatge
Assistència a pràctiques (part 1)	8%	0	0	CA14, KA14, SA14, SA15, SA16
Assistència i participació activa a classe	10%	0	0	CA13, KA13, KA14, KA15, SA15, SA16
Defensa oral de treballs (part 2)	32%	2	0,08	CA14, KA13, KA14, SA15, SA16
Proves teòrico-pràctiques (part 1 i 3)	50%	4	0,16	CA13, KA13, KA14, SA14, SA15, SA16

L'avaluació del mòdul estarà basada en el treball realitzat pels o per les alumnes, l'assistència i participació a classe i a les pràctiques, la presentació oral d'un article científic i la nota dels exàmens.

Per participar a la recuperació, l'alumnat ha d'haver estat prèviament avaluat en un conjunt d'activitats el pes de les quals equivalgui a un mínim de dues tercers parts de la qualificació total de l'assignatura o mòdul. Per tant, l'alumnat obtindrà la qualificació de "No Avaluable" quan les activitats d'avaluació realitzades tinguin una ponderació inferior al 67% en la qualificació final.

Important: Si es detecta plagi en algun dels treballs entregats podrà comportar que el o la alumne/a suspengui el mòdul sencer.

Aquesta assignatura/mòdul no preveu el sistema d'avaluació única.

Bibliografia

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 Genetics 2. 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.

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

Programari

No procedeix

Grups i idiomes de l'assignatura

La informació proporcionada és provisional fins al 30 de novembre de 2025. A partir d'aquesta data, podreu consultar l'idioma de cada grup a través daquest [enllaç](#). Per accedir a la informació, caldrà introduir el CODI de l'assignatura

Nom	Grup	Idioma	Semestre	Torn
(PLABm) Pràctiques de laboratori (màster)	1	Anglès	primer quadrimestre	matí-mixt
(TEm) Teoria (màster)	1	Anglès	primer quadrimestre	matí-mixt