

| Titulació     | Tipus | Curs |
|---------------|-------|------|
| Biotecnologia | OP    | 4    |

## Professor/a de contacte

Nom : Fàtima Bosch Tubert

Correu electrònic : fatima.bosch@uab.cat

## Equip docent

Verónica Jimenez Cenzano

## Idiomes dels grups

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

## Prerequisits

No existeixen prerequisits per cursar aquesta assignatura. Tot i així, és aconsellable per a facilitar el bon seguiment de la matèria per part de l'alumne/a i l'assoliment dels resultats d'aprenentatge plantejats que l'alumne/a tingui coneixements previs de Biologia Cel·lular, Genètica, Biologia Molecular i Tecnologia del DNA Recombinant.

És aconsellable també que els/les alumnes tinguin coneixement bàsic d'anglès per tal de poder utilitzar fonts d'informació del camp, que es troben bàsicament en aquest idioma.

## Objectius

Els objectius de l'assignatura de Teràpia gènica i cel·lular se centraran en proporcionar a l'alumne/a coneixements en la manipulació gènica de les cèl·lules amb finalitat terapèutica i tecnologies associades. Així, els continguts de la matèria seran: Descripció de la teràpia gènica *in vivo* i *ex vivo*; estudi dels diferents vectors utilitzats per a la transferència gènica, tant virals com no virals, les seves avantatges i desavantatges, les vies d'administració i les aplicacions al tractament de malalties humanes hereditàries i no hereditàries. Descripció de teràpia cel·lular. Trasplantament de cèl·lules somàtiques diferenciades (illots, hepatòcits, medul·la òssia). Trasplantament de cèl·lules mare pluripotencials (embrionàries i adultes). Fonts cel·lulars per a la teràpia cel·lular. Aplicacions terapèutiques de la teràpia cel·lular. Aspectes de bioseguretat, ètics i legals de la teràpia cel·lular en humans.

## Resultats d'aprenentatge

- CM35 (Avaluar les diferents metodologies útils per a l'obtenció de models de la malaltia.) Avaluar les

- diferents metodologies útils per a l'obtenció de models de la malaltia.
- CM37 (Aplicar els principis bàsics que regulen la interacció dels fàrmacs amb els organismes.) Aplicar els principis bàsics que regulen la interacció dels fàrmacs amb els organismes.
  - KM38 (Descriure les bases moleculars de les malalties en els seus diferents mecanismes.) Descriure les bases moleculars de les malalties en els seus diferents mecanismes.
  - SM35 (Avaluar diferents models moleculars o organismes per a la investigació de les malalties.) Avaluar diferents models moleculars o organismes per a la investigació de les malalties.

## Continguts

A les classes de teoria s'impartiran els següents continguts o temari:

### TEMA 1

Bases conceptuals de la Teràpia Gènica. Teràpia Gènica *in vivo* i *ex vivo*. Introducció a la Teràpia Cel.lular.

### TEMA 2

Vectors retrovirals derivats del virus de la leucèmia murina. Cicle replicatiu dels retrovirus. Obtenció de vectors retrovirals. Expressió gènica a partir de vectors retrovirals. Aplicacions.

### TEMA 3

Vectors lentivirals (LV). Estructura genètica dels lentivirus. Obtenció de vectors derivats de lentivirus. Característiques. Aplicacions.

### TEMA 4

Vectors adenovírics. (Ad). Estructura i organització genòmica dels adenovirus. Obtenció de vectors adenovírics. Característiques. Aplicacions. Obtenció de vectors d'última generació menys immunogènics (HD-Ad). Adenovirus oncolítics.

### TEMA 5

Vectors adenoassociats (AAV). Biologia dels virus adenoassociats. Obtenció de vectors recombinants derivats de virus adenoassociats. Característiques. Aplicacions.

## TEMA 6

Vectors no virals (I). Utilització de liposomes catiónics en teràpia gènica. Transferència gènica mitjançada per polímers catiónics. Transferència gènica mitjançada per receptors.

## TEMA 7

Vectors no virals (II). Transferència de DNA plasmídic en solució a múscul esquelètic. Electrotransferència. Transferència de DNA plasmídic en solució a fetge mitjançant procediments hidrodinàmics. Aplicacions.

## TEMA 8

RNA d'interferència (siRNA). Teràpia gènica basada en la utilització de siRNA. Aplicacions.

## TEMA 9

Modificació gènica mitjançant "Zinc-finger nucleases" i altres "nucleases" i altres "Meganucleases". Aplicació al camp de la teràpia gènica.

## TEMA 10

Teràpia Gènica *ex vivo*; Cèl·lules mare hematopoiètiques.

## TEMA 11

Introducció a les Cèl·lules Mare Embrionàries (*ES cells*). Diferenciació d'*ES cells*. Aplicacions clíniques de les *ES cells*.

## TEMA 12

Cèl·lules Mare Adultes i les seves aplicacions.

### TEMA 13

Reprogramació i *Induced Pluripotent Stem Cells (iPS)*.

### TEMA 14

Teràpia gènica per a malalties hereditàries monogèniques: Immunodeficiències. Malalties lisosomals. Fibrosi quística. Malalties oculars. Hemofília. Distrofies musculars. Altres malalties.

### TEMA 15

Teràpia gènica per a càncer. Immunoteràpia. Utilització de gens "suïcides". Teràpies antiangiogèniques. Utilització de gens supressors de tumors. Utilització de seqüències antisentit. Altres estratègies terapèutiques.

### TEMA 16

Teràpia gènica per a diabetis mellitus. Teràpia gènica per a malalties cardiovasculars. Teràpia gènica per a malalties neurodegeneratives. Teràpia gènica per a malalties infeccioses: Sida, Hepatitis. Vacunes de DNA.

### TEMA 17

Teràpia cel·lular per la regeneració de l'ós i cartíleg.

### TEMA 18

Teràpia cel·lular per a la regeneració de la pell. Teràpia cel·lular per la regeneració de malalties oculars.

## TEMA 19

Teràpia cel·lular per Parkinson i altres malalties del Sistema Nerviós Central.

## TEMA20

Teràpia cel·lular per la diabetis i malalties cardiovasculars.

## TEMA 21

Protocols clínics de teràpia gènica i/o cel·lular. Fases. Regulació Europea. Regulació als USA. Aspectes ètics de la teràpia gènica i cel·lular.

A les classes de pràctiques es plantegen tres exercicis. En el primer es tracta d'un treball de disseny d'una estratègia de teràpia gènica o cel·lular per una malaltia des de la prova de concepte fins al estudis clínics amb pacients humans. Serveix com a treball de síntesis de tots els coneixements explicats a les classes teòriques. En el segon es tracta de tenir una experiència pràctica de la utilització de animals en els estudis de teràpia gènica i cel·lular. Veiem mètodes d'administració de diferents vectors. En el tercer exercici els mostrem als alumnes com realitzar una hepatectomia parcial per a teràpies gèniques dirigides a fetge.

Contingut de les pràctiques de laboratori:

-Disseny d'una estratègia de teràpia gènica o cel·lular. Discussió de les diverses opcions.

-Introducció a la utilització d'animals en els estudis de teràpia gènica i cel·lular.

-Mètodes i vies d'administració de vectors virals i no virals.

Activitats formatives i Metodologia

---

| Títol                        | Hores | ECTS | Resultats d'aprenentatge |
|------------------------------|-------|------|--------------------------|
| Tutories                     | 5     | 0,2  | CM35, CM37, KM38, SM35   |
| Temps d'estudi individual    | 74    | 2,96 | CM35, CM37, KM38, SM35   |
| Classes pràctiques           | 12    | 0,48 | CM35, CM37               |
| Presentació oral de treballs | 10    | 0,4  | CM35, KM38, SM35         |
| Classes teòriques            | 34    | 1,36 | CM35, CM37, SM35         |
| Presentació oral de treballs | 9     | 0,36 | CM35, KM38, SM35         |

L'assignatura de Teràpia Gènica i Cel·lular consta de classes teòriques, classes pràctiques, i presentacions orals de treballs tutoritzats. Les activitats formatives de l'assignatura es complementen.

#### Classes de Teoria

El contingut del programa de teoria serà impartit principalment pel/per la professor/a en forma de classes magistrals amb suport audiovisual. Les presentacions utilitzades a classe pel/per la professor/a estaran a disposició dels/les alumnes al Campus Virtual/Moodle de l'assignatura. Aquestes sessions expositives constituïran la part més important de l'apartat de teoria. S'aconsella que els/les alumnes consultin de forma regular els llibres i enllaços recomanats a l'apartat de Bibliografia d'aquesta guia docent i al Campus Virtual/Moodle per tal de consolidar i clarificar, si és necessari, els continguts explicats a classe.

#### Pràctiques de laboratori

Les classes pràctiques estan dissenyades perquè els/les alumnes integrin d'una manera experiencial els coneixements impartits en les classes teòriques, tinguin una experiència directa del maneig d'animals d'experimentació en aquests estudis i visquin l'emoció de la recerca.

Es tracta de 3 sessions de 3h cadascuna (de 15h a 19h), treballant en grups de 2 persones sota la supervisió d'un/una professor/a responsable. Les dates dels diferents grups de pràctiques i els laboratoris es podran consultar amb la suficient antelació al Campus Virtual/Moodle de l'assignatura.

L'assistència a les classes pràctiques és obligatòria.

El Manual de Pràctiques estarà disponible en el Campus Virtual/Moodle. A cada sessió de pràctiques, és obligatori que el/la alumne/a porti: la seva pròpia bata, un bolígraf i el Manual de Pràctiques.

#### Presentacions orals de treballs

Els/les alumnes prepararan i realitzaran una presentació oral, davant de la classe, d'un treball de recerca actual, relacionat amb la teràpia gènica i cel·lular i publicat en revistes científiques internacionals. La preparació d'aquesta exposició serà en grups de 2 alumnes i serà tutoritzada. L'exposició oral serà de 10 minuts, repartits equitativament entre els integrants del grup, més 5 minuts per preguntes (total 15 minuts). L'objectiu és que els/les alumnes s'habituin a la recerca de publicacions científiques, la seva lectura i interpretació, i si s'escau visió crítica, de gràfiques, taules i resultats, de manera guiada. D'altra banda, els/les alumnes també aprofundiran en les aplicacions actuals de la tecnologia d'animals transgènics.

#### Tutories

Les presentacions orals de treballs estan tutoritzades. A més, a petició dels/de les alumnes es realitzaran tutories individuals al llarg de l'assignatura. L'objectiu d'aquestes sessions serà el de resoldre dubtes, repassar conceptes bàsics i orientar sobre les fonts d'informació consultades i sobre com fer una exposició científica en públic.

#### 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 l'alumnat completi 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 |
|--------------------------------------------------------------|-----|-------|------|--------------------------|
| Examen de les classes de pràctiques de laboratori            | 15% | 1     | 0,04 | CM35, CM37               |
| Exercici d'autoaprenentatge                                  | 10% | 1     | 0,04 | CM35, SM35               |
| Assistència a la presentació oral de treballs d'investigació | 10% | 0     | 0    | CM35, KM38, SM35         |
| Presentació oral de treballs d'investigació                  | 15% | 1     | 0,04 | CM35, KM38, SM35         |
| Examen teòric final                                          | 50% | 3     | 0,12 | CM35, CM37, SM35         |

Per a superar l'assignatura serà imprescindible obtenir una qualificació final igual o superior a 5 punts (sobre 10) i haver assistit a les pràctiques. Les activitats d'avaluació programades són:

#### 1.- Un examen teòric final

Comptarà un 50% de la nota final (5 punts sobre 10). Consisteix en un examen final, amb preguntes tipus test (Veritat o Fals), referents a la matèria impartida a les classes teòriques. Es requerirà obtenir una nota mínima de 2,5 punts sobre 5 en aquest examen per aprovar l'assignatura.

Hi haurà un examen teòric de recuperació de l'assignatura, amb les mateixes característiques que l'examen teòric final, pels/les alumnes que no l'hagin superat.

#### 2.- Un examen de les classes de pràctiques de laboratori

Comptarà un 15% de la nota final (1,5 punts sobre 10). Consisteix en un examen amb preguntes tipus test (Veritat o Fals). Es realitzarà el mateix dia que es faci l'examen de teoria.

L'assistència a les sessions pràctiques (o sortides de camp) és obligatòria. L'alumnat obtindrà la qualificació de "No Avaluable" quan l'absència sigui superior al 20% de les sessions programades.

#### 3.- Exercici d'autoaprenentatge

Comptarà un 10% de la nota final (1 punt sobre 10), Consisteix en un exercici que l'alumne/a haurà de desenvolupar pel seu compte. El material per dur a terme l'exercici estarà disponible al Campus Virtual a finals d'abril. L'avaluació d'aquest exercici serà presencial.

#### 4.- Presentació oral de treballs d'investigació

Comptarà un 15% de la nota final (1,5 punts sobre 10). S'avaluarà la presentació oral del treball a cada alumne/a de forma individual, així com la seva de recerca bibliogràfica i el document de suport audiovisual que hagin preparat en grup.

## 5.- Assistència a la presentació oral de treballs d'investigació

Comptarà fins a un 10% de la nota final (1 punt sobre 10). S'avaluarà tant l'assistència com la participació en les discussions científiques de les sessions, seguint el barem:

Assistència 90-100% = 1 punt

Assistència 80-89% = 0,8 punts

Assistència 70-79% = 0,7 punts

Assistència 60-69% = 0,6 punts

Assistència 50-59% = 0,5 punts

Assistència 0-49% = 0 punts

6.- La revisió de la qualificació dels exàmens de teoria i de pràctiques es realitzarà de forma presencial un dia i una hora comunicats via campus virtual, uns dies després de la publicació de les notes.

Avaluació única: L'examen de teoria i pràctiques es realitzarà el mateix dia. L'assistència a classes de pràctiques és obligatòria. Per a la presentació oral de treballs de recerca, en cas que TOT EL GRUP que realitza la presentació estigui acollit a l'avaluació única, el grup podrà realitzar la presentació oral el mateix dia de l'examen teòric i pràctic, una vegada finalitzat l'examen. Els alumnes que s'acullin a avaluació única i que no puguin assistir a les presentacions orals, podran aconseguir de forma opcional el punt d'assistència a les presentacions orals de treballs d'investigació realitzant un anàlisi d'un article o una activitat relacionada amb la temàtica de l'assignatura, el mateix dia de l'examen una vegada finalitzat l'examen.

En aquesta assignatura, no es permet l'ús de tecnologies d'Intel·ligència Artificial (IA) en cap de les seves fases. Qualsevol treball que inclogui fragments generats amb IA serà considerat una falta d'honestedat acadèmica i pot comportar una penalització parcial o total en la nota de l'activitat, o sancions majors en casos de gravetat

La realització de qualsevol irregularitat en un acte d'avaluació (fraud acadèmic, plagi o ús indegut de la IA, tret que aquest ús estigui autoritzat expressament a la guia docent), que pugui conduir a una variació significativa de la qualificació, suposa que aquest acte es qualificarà amb un 0. En cas que la guia docent prevegi que per superar l'assignatura sigui requisit imprescindible haver obtingut una nota mínima en aquest acte d'avaluació o que es produeixin diverses irregularitats en els actes d'avaluació d'una mateixa assignatura, la qualificació final d'aquesta assignatura és 0. Al marge d'això, es podrà instruir un procés disciplinari a l'estudiant que incorri en alguna d'aquestes irregularitats

## Bibliografia

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.

## Programari

No procedeix

### Grups i idiomes de l'assignatura

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

| Tipus de docència               | Grup | Idioma          | Semestre           | Torn      |
|---------------------------------|------|-----------------|--------------------|-----------|
| (TE) Teoria                     | 44   | Català/Castellà | segon quadrimestre | matí-mixt |
| (PLAB) Pràctiques de laboratori | 441  | Català/Castellà | segon quadrimestre | tarda     |
| (SEM) Seminaris                 | 441  | Català/Castellà | segon quadrimestre | matí-mixt |
| (PLAB) Pràctiques de laboratori | 442  | Català/Castellà | segon quadrimestre | tarda     |
| (PLAB) Pràctiques de laboratori | 443  | Català/Castellà | segon quadrimestre | tarda     |
| (PLAB) Pràctiques de laboratori | 444  | Català/Castellà | segon quadrimestre | tarda     |