

**FITXA IDENTIFICATIVA****Dades de l'Assignatura**

Codi	43033
Nom	Fonaments de teràpia gènica
Cicle	Màster
Crèdits ECTS	3.0
Curs acadèmic	2024 - 2025

Titulació/titulacions

Titulació	Centre	Curs	Període
2138 - M.U.Inv.Ús Rac.Med.	Facultat de Farmàcia i Ciències de l'Alimentació	1	Anual

Matèries

Titulació	Matèria	Caràcter
2138 - M.U.Inv.Ús Rac.Med.	9 - Fonaments de Teràpia Gènica	Optativa

Coordinació

Nom	Departament
HERRERO CERVERA, M.JOSE	135 - Farmacologia

RESUM

L'assignatura pretén donar a conèixer les noves possibilitats que offers el coneixement del genoma humà en relació amb la optimització terapèutica, el desenvolupament de nous medicaments i el potencial terapèutic dels gens i / o àcids nucleics utilitzats com a medicaments Aborda els conceptes bàsics integrats de la Farmacologia amb els coneixements de la Biologia Molecular. Es pretén introduir per un costat les bases de la Farmacogenètica i Farmacogenòmica en relació amb l'ús racional del medicament i com un pilar d'interès en la terapèutica individualitzada. D'altre costat, s'introdueixen els conceptes necessaris per a comprendre els procediments de Transferència de gens mitjançant la utilització de procediments físics o el concurs de vectors virals i no virals. Es aborda la teràpia gènica amb projecció clínica a tota la seva dimensió, bé utilitzant cèl·lules somàtiques (o troncal diferenciadades) o cèl·lules modificades genèticament. S'aprofundeix en el potencial terapèutic de aquests nous procediments, així com en l'eficàcia i riscos dels mateixos i els problemes ètics que la seva utilització suscita.



CONEXEMENTS PREVIS

Relació amb altres assignatures de la mateixa titulació

No heu especificat les restriccions de matrícula amb altres assignatures del pla d'estudis.

Altres tipus de requisits

Interès per les noves estratègies terapèutiques. Avidesa per conèixer l'impacte del coneixement del genoma sobre la salut i la malaltia. Aspirar a conèixer el fonament del desenvolupament dels àcids nucleics com a font de nous medicaments. Desitjar comprendre el diàleg entre els medicaments gènics i el genoma de l'individu amb la finalitat reparar i / o restablir funcions perdudes o introduir-ne de noves amb finalitats terapèutiques. Desitjar conèixer quines són les tendències actuals sobre teràpies avan

2138 - M.U.Inv.Ús Rac.Med.

- Manejar adequadament les fonts d'informació biomèdica i posseir l'habilitat de fer una valoració crítica d'aquestes integrant la informació per aportar coneixements a grups assistencials multidisciplinaris.
- Que els estudiants sàpiguen comunicar les conclusions (i els coneixements i les raons últimes que les sustenten) a públics especialitzats i no especialitzats d'una manera clara i sense ambigüitats.
- Que els estudiants posseïsquen les habilitats d'aprenentatge que els permeten continuar estudiant d'una forma que haurà de ser en gran manera autodirigida o autònoma.
- Ser capaços d'accedir a la informació necessària (bases de dades, articles científics, etc.) i tenir prou criteri per a la seua interpretació i utilització.
- Posseir i comprendre coneixements que aportin una base o oportunitat de ser originals en el desenvolupament i / o aplicació d'idees, sovint en un context de recerca.
- Saber redactar i preparar presentacions per posteriorment exposar-les i defensar-les.
- Ser capaços d'accedir a ferramentes d'informació en altres àrees del coneixement i utilitzar-les apropiadament.
- Resoldre de dilemes ètics derivats de l'ocupació de medicaments.
- Dominar la comunicació científica. Posseir habilitats socials i comunicatives en la pràctica assistencial.
- Capacitat de seleccionar i gestionar els recursos disponibles (instrumentals i humans) per a optimitzar resultats en investigació.

- Establir un nexe de continuïtat entre els avenços del coneixement en la tecnologia de l'ADN recombinant i la seva aplicació en l'àrea de la salut, amb finalitats terapèutiques
- Identificar la teràpia gènica com una nova eina terapèutica basada en la utilització dels àcids nucleics com a medicaments.
- Analitzar de forma crítica les estratègies de teràpia gènica proposades per les diferents patologies, tant de tipus



hereditari com adquirides

- Realitzar recerques d'informació qualificada en teràpia gènica
- Valorar de forma crítica les noves aportacions científiques en l'àrea de teràpia gènica
- Transmetre informació sobre les noves aportacions de la teràpia gènica a professionals sanitaris
- Discernir entre els avenços en el coneixement sobre teràpia gènica i la seva utilitat immediata en la pràctica clínica

DESCRIPCIÓ DE CONTINGUTS

1. Fonaments moleculars de la teràpia gènica

En aquesta unitat es pretén introduir i desenvolupar l'impacte que el coneixement sobre el genoma té sobre la salut i la malaltia. S'introdueix els conceptes de Farmacogenètica i farmacogenòmic i es valora la importància de l'optimització de la resposta del pacient als fàrmacs convencionals en base a les característiques genètiques de l'individu. Així mateix s'introdueix el concepte de la utilització dels àcids nucleics com a medicaments i els fonaments moleculars de la teràpia gènica en base al disseny i construcció de gens traçadors i terapèutics.

2. Vectors, estratègies i procediments de teràpia gènica

En aquesta unitat es pretenc donar a conèixer nenes especials característiques que tenen els àcid nucleics per a ser dissenyats com medicaments i en aquest sentit, ell ús de vectors és un requisit important perquè els àcids nucleics puguin arribar a destinació terapèutic amb eficàcia. S'analitzen i discuteixen els diferents tipus de vectors disponibles (virals i no virals) així com els avantatges i inconvenients de cada un d'ells, per tal de tenir criteri per seleccionar el més adequat en base a cada patologia o objectiu concret que es predte . Es van definir i mostra els principals tipus de disseny i procediments de utilzación in vivo o ex vivo de la teràpia gènica i el seu perfil de seguretat.

3. Eficàcia de la teràpia gènica

En aquesta unitat es mostra el valor terapèutic de la teràpia gènica, utilitzant models experimentals. D'una banda, es valora la importància i la implicació que té en les malalties hereditàries la introducció de nous gens a les cèl·lules per tal de restablir funcions perdudes i com en els casos en aquesta pèrdua de funció és compensada pel nou gen, la cèl·lula pot recuperar la seva normalitat. Es mostra que la introducció de noves funcions en cèl·lules normals pot contribuir assolir objectius terapèutics sistèmics. D'altra banda, es valora la importància del silenciament gènica com un procediment de teràpia gènica destinat a bloquejar la funció d'un gen mutat, l'expressió és responsable de la patologia. Finalment s'aborda els procediments destinats a reparar mutacions en el genoma, amb l'avantatge que suposa que el gen reparat pot exercir la seva funció amb gran eficàcia i seguretat.



4. Projecció clínica de la teràpia gènica

En aquesta unitat es pretén donar a conèixer els medicaments genètics ja comercialitzats i l'estat actual dels assajos clínics realitzats en humans. En aquests casos, es valora la seva eficàcia i seguretat d'ús en diferents malalties de caràcter hereditari o adquirit, així com el seu interès en el desenvolupament de vacunes gèniques o vacunes-ADN i vacunes amb cèl·lules modificades genèticament.

5. Aspectes ètics i legals de la teràpia gènica

La modificació i/o manipulació genètica de les cèl·lules té implicacions socials de caràcter ètic i legislatiu importants. S'aborden temes relacionats amb la confidencialitat de la informació genètica obtinguda, el dret a saber i no saber del pacient, els límits de la manipulació genètica de cèl·lules somàtiques o germinals, així com l'ús de cèl·lules embrionàries, la clonació reproductiva o terapèutica, la producció de cèl·lules troncales induïbles, híbrids, etc.

VOLUM DE TREBALL

ACTIVITAT	Hores	% Presencial
Classes de teoria	25,00	100
Seminaris	5,00	100
TOTAL	30,00	

METODOLOGIA DOCENT

- 1) Classes teòriques basades en lliçó magistral participativa mitjançant el plantejament de qüestions
- 2) Seminaris presentats per l'alumne sobre temes oferts pel professor, sota l'orientació i tutela
- 3) Discussió d'assaigs clínics i / o articles científics, moderada pel professor
- 4) Debats sobre qüestions sensibles, ètiques o legals derivades de la teràpia gènica humana
- 5) Conferències d'experts
- 6) Resolució de qüestions plantejades en línia

Per a completar les hores presencials s'adaptaran els materials previstos per a la docència presencial, de manera que l'estudiant pugui accedir a elles en qualsevol moment. Utilització del fòrum de l'Aula virtual per a atendre els dubtes. Per a les sessions de Pràctiques del contingut teòric es combinaria la utilització de videoconferències i/o la realització dels exercicis proposats mitjançant l'opció "Tasca" de l'aula virtual.

Durant les activitats, tant teòriques com pràctiques, s'han d'indicar les aplicacions dels continguts de l'assignatura en relació amb els objectius de desenvolupament sostenible (ODS). Amb això es pretén proporcionar coneixements, habilitats i motivació per comprendre i abordar aquests ODS, alhora que es promou la reflexió i la crítica.



AVALUACIÓ

- 1) Evaluación formativa: Problemas y cuestiones 40%
- 2) Evaluación final: Examen teórico: 40%
- 3) Trabajo: 20%

REFERÈNCIES

Bàsiques

- - Artículos y revisiones en revistas especializadas en el tema:
 - Gene Therapy
 - Human Gene Therapy
 - Cancer Gene Therapy
 - Journal of Gene Medicine
 - Molecular Therapy