

**FICHA IDENTIFICATIVA****Datos de la Asignatura**

<b>Código</b>	34510
<b>Nombre</b>	Terapéutica génica y celular
<b>Ciclo</b>	Grado
<b>Créditos ECTS</b>	4.5
<b>Curso académico</b>	2022 - 2023

**Titulación(es)**

<b>Titulación</b>	<b>Centro</b>	<b>Curso</b>	<b>Periodo</b>
1204 - Grado en Medicina	Facultad de Medicina y Odontología	5	Segundo cuatrimestre

**Materias**

<b>Titulación</b>	<b>Materia</b>	<b>Carácter</b>
1204 - Grado en Medicina	18 - Optativas	Optativa

**Coordinación**

<b>Nombre</b>	<b>Departamento</b>
ALIÑO PELLICER, SALVADOR FRANCISC	135 - Farmacología

**RESUMEN**

El objetivo de esta materia es desarrollar el conocimiento y la capacidad de trabajo y comunicación en el ámbito del análisis de la información actualizada en los diferentes aspectos de la terapéutica. La incorporación de las nuevas tecnologías de la información, comunicación y búsqueda bibliográfica contribuirán a dichos objetivos. Entre las actividades formativas se incluirán aspectos relacionados con el desarrollo de las células y genes como herramientas terapéuticas, así como interpretación de los efectos de estos procedimientos y seminarios especiales destinados al estudio de aspectos terapéuticos puntuales.

La terapia Génica y Celular se encuentra en la actualidad en una fase de importante desarrollo traslacional y ha demostrado su interés terapéutico en un número significativo de patologías graves, para las que no existen terapias curativas alternativas.



## CONOCIMIENTOS PREVIOS

### Relación con otras asignaturas de la misma titulación

No se han especificado restricciones de matrícula con otras asignaturas del plan de estudios.

### Otros tipos de requisitos

Se recomienda haber cursado las siguientes asignaturas: Anatomía, Biología, Bioquímica, Fisiología, Farmacología general y Patología general.

## COMPETENCIAS (RD 1393/2007) // RESULTADOS DEL APRENDIZAJE (RD 822/2021)

## RESULTADOS DE APRENDIZAJE (RD 1393/2007) // SIN CONTENIDO (RD 822/2021)

Al finalizar esta asignatura el estudiante deberá ser capaz de:

- 1) Conocer las bases científicas en que se asienta la terapéutica génica y celular.
- 2) Comprender los aspectos biológicos de genes y células en su interacción con el organismo humano.
- 3) Razonar la influencia de genes y células sobre el organismo.
- 4) Comprender las bases de la acción de genes y células sobre la fisiopatología del ser humano.
- 5) Razonar que efectos tendrá en una hipotética aplicación terapéutica y cuales se interpretarán como reacciones adversas, en función del paciente.
- 6) Conocer las bases de posibles interacciones entre diferentes estrategias en el organismo, con el objetivo de su previsión en la práctica médica.

## DESCRIPCIÓN DE CONTENIDOS

### 1. UNIDADES TEMÁTICAS TEÓRICAS

1. Terapias avanzadas. Antecedentes y estado actual.
2. Tipos celulares para el trasplante. Células troncales adultas y embrionarias.
3. Transferencia nuclear. Medicina regenerativa.
4. Transferencia mitocondrial: interés terapéutico.
5. Ácidos nucleicos terapéuticos.



6. Silenciamiento génico y estrategias terapéuticas.
7. Edición y reparación génica.
8. Implementación génica: estrategias y vectores.
9. Vectores virales de terapia génica.
10. Vectores no virales de terapia génica.
11. Direccionamiento de vectores y expresión génica condicional.
12. Vacunas genéticas e inmunotolerancia.
13. Terapia génica y celular de enfermedades hereditarias.
14. Terapia génica y celular de enfermedades hematológicas.
15. Terapia génica y celular de enfermedades oncológicas.
16. Terapia génica y celular de enfermedades adquiridas.
17. Terapia génica y celular de enfermedades degenerativas.

## 2. PRÁCTICAS

### SEMINARIOS

1. Organización y funciones del genoma.
2. Medicamentos génicos. Desarrollo.
3. Caracterización de genes y células como medicamentos.
4. Aspectos éticos de la terapia génica y celular.
5. Implementación génica
6. Silenciamiento génico
7. Enfermedades hereditarias
8. Enfermedades hematológicas
9. Enfermedades oncológicas

## VOLUMEN DE TRABAJO

ACTIVIDAD	Horas	% Presencial
Seminarios	26,00	100
Clases de teoría	19,00	100
<b>TOTAL</b>	<b>45,00</b>	

## METODOLOGÍA DOCENTE

La metodología docente contempla la traslación clínica de los fundamentos teóricos de la materia en dos conjuntos de actividades:

**Clases Teóricas:** el profesor introduce las principales directrices de la materia en tres grandes bloques bien diferenciados: a) El ámbito de aplicación (temas 1-5), contemplado en el marco de las denominadas terapias avanzadas, pretende establecer su potencial espectro de actuación; b) los fundamentos científicos y las herramientas disponibles (temas 6-11) que permitan evaluar el beneficio/riesgo de su utilización con fines terapéuticos; c) La aplicación clínica de la terapia génica y celular en enfermedades relevantes (temas 12-17) por su frecuencia o gravedad.



La clase se inicia exponiendo los principales objetivos de misma y termina estableciendo una serie de cuestiones que los alumnos deben responder de forma breve por escrito y entregar en siguiente clase. Esto estimula el seguimiento crítico de la clase por el alumno y favorece su participación activa durante la misma, con el fin de resolver dudas conceptuales.

**Seminarios:** a principio de curso se entrega en el Aula Virtual los artículos (8-10) que deben leer, resumir y entregar, de acuerdo con una agenda establecida y se elige a los voluntarios que desean llevar a cabo la exposición del trabajo en clase, para su posterior discusión.

En los seminarios se pretende alcanzar varios objetivos: a) recuperar y matizar los conocimientos básicos previos del alumno en materia de biología celular, biología molecular y farmacología para comprender mejor el fundamento del diseño de genes y células como medicamentos; b) comprender que el desarrollo de estas nuevas estrategias terapéuticas pueden generar conflictos éticos importantes que el alumno debe saber identificar, exponer y analizar de forma objetiva; c) que el alumno adquiera capacidad y destreza para leer, comprender, exponer y/o discutir de forma crítica los ensayos clínicos publicados sobre terapia génica y celular.

El desarrollo del seminario contempla: a) conocer las respuestas dada por los alumnos (elegidos por el profesor) a las cuestiones formuladas en la clase teórica y consensuar las respuestas con el resto de la clase; b) plantear por parte de los alumnos cualquier otra cuestión o duda e intentar resolverlas por los propios alumnos, si fuera posible; c) Adquirir hábitos y destrezas de actualización en el avance traslacional de la terapia génica y celular en práctica médica.

## EVALUACIÓN

**TEORÍA:** Representa el 50% de la nota. Será evaluada: bien mediante el **Examen Final Oficial** que consta de 15 preguntadas cortas y 2 temas con espacio limitado a la cara de un folio cada tema, o bien, mediante **Evaluación continuada** que consta de 3-4 exámenes que incluye 5-8 preguntas cortas pudiendo incluir también un tema, en alguno de ellos. La puntuación es: hasta 2 puntos cada pregunta corta y hasta 5 puntos por tema. Las calificaciones se notificarán de forma simultánea después del Examen Oficial.

**PRÁCTICAS:** 1) Son obligatorias; 2) Representan el 50% de nota final; 3) El alumno será evaluado de forma continuada: asistencia/participación (hasta 2 puntos), cuestionarios (hasta 1,5 puntos) y resúmenes de artículos (hasta 1,5 puntos)

Es requisito para acceder al adelanto de convocatoria de esta asignatura que el estudiante haya cursado la totalidad de sus prácticas.

La asistencia a las prácticas será obligatoria.

Se recuerda a los alumnos la importancia de realizar las encuestas de evaluación a todo el profesorado de las asignaturas del grado.



## REFERENCIAS

### Básicas

- A guide to human gene therapy. Eds R.W. Herzog, S Zolotukhin. World Scientific Publishing Co. 2010
- Gene Transfer, Gene Therapy and Genetic Pharmacology. Ed. D Scherman. Imperial College Press 2014
- Advances in genetics. Non viral vectors for gene therapy. Physical methods and medical translation. Ed. L. Huang, D. Liu, E.Wagner. Elsevier Academic Press 2015
- CRISPR 101. Ed. Addgene 2021 [www.addgene.org](http://www.addgene.org)
- Antisense RNA design, delivery and analysis. Eds. V. Aarechavala-Gomez, A. Garanto. Humana Press 2022
- Oligonucleotide, Therapy, and Applications. Ed. S.F. Aliño and L. Sendra. IJMS. MDPI 2022 ISBN 978-3-0365- <https://www.mdpi.com/books/pdfview/book/4951>

### Complementarias

- Recursos-e Salut: ClilnicaKey Sudent. Elsevier (Scopus, ScienceDirect). [uv-es.libguides.com/RecursosSalut/BibliotecaSalut](http://uv-es.libguides.com/RecursosSalut/BibliotecaSalut)
- En el comienzo de curso se suministrará información o documentación actualizada (revisiones o artículos) sobre las diferentes partes de la asignatura.