

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

Código	34510
Nombre	Terapèutica gènica y celular
Ciclo	Grado
Créditos ECTS	4.5
Curso académico	2023 - 2024

Titulación(es)

Titulación	Centro	Curso	Periodo
1204 - Grado de Medicina	Facultad de Medicina y Odontología	5	Segundo cuatrimestre

Materias

Titulación	Materia	Caracter
1204 - Grado de Medicina	18 - Optativas	Optativa

Coordinación

Nombre	Departamento
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 terapèutica. 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 terapèuticas, así como interpretación de los efectos de estos procedimientos y seminarios especiales destinados al estudio de aspectos terapèuticos puntuales.

La terapia Gènica y Celular se encuentra en la actualidad en una fase de importante desarrollo traslacional y ha demostrado su interés terapèutico 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

RESULTADOS DE APRENDIZAJE

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) Antecedentes y estado actual de la TGC
- 2) Terapia génica somática
- 3) Terapia celular. Tipos celulares
- 4) Transferencia nuclear. Medicina regenerativa
- 5) Reemplazo mitocondrial
- 6) Ácidos nucleicos terapéuticos
- 7) Silenciamiento génico: ASO, siRNA
- 8) Implementación/adición génica



- 9) Edición génica/repación
- 10) Vectores virales RNA de terapia génica
- 11) Vectores virales DNA de terapia génica
- 12) Vectores no virales de terapia génica
- 13) Selectividad del vector terapéutico
- 14) TGC-Enfermedades hereditarias
- 15) Viroterapia y viroterapia génica
- 16) TGC-Enfermedades hematológicas
- 17) TGC-Enfermedades oncológicas
- 18) Inmunoterapia génica
- 19) TGC-Enfermedades adquiridas y degenerativas
- 20) Retos y perspectivas de la TGC

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

NOTA: En cada seminario se discutirá las cuestiones propuestas en las clases teóricas impartidas con anterioridad. Se incluirá oportunos ejemplos actuales de enfermedades con su correspondiente terapia génica aprobada para su uso clínico por la EMA (Agencia Europea del Medicamento).

VOLUMEN DE TRABAJO

ACTIVIDAD	Horas	% Presencial
Seminarios	26,00	100
Clases de teoría	19,00	100
TOTAL	45,00	

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.

Se incorporará la perspectiva de género y los objetivos de desarrollo sostenible (ODS) a la docencia, siempre que sea posible.

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
- 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
- En el comienzo de curso se suministrará información o documentación actualizada (revisiones o artículos) sobre las diferentes partes de la asignatura.