

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

Codi	34510
Nom	Terapèutica gènica i cel·lular
Cicle	Grau
Crèdits ECTS	4.5
Curs acadèmic	2023 - 2024

Titulació/titulacions

Titulació	Centre	Curs	Període
1204 - Grau de Medicina	Facultat de Medicina i Odontologia	5	Segon quadrimestre

Matèries

Titulació	Matèria	Caràcter
1204 - Grau de Medicina	18 - Optativas	Optativa

Coordinació

Nom	Departament
ALIÑO PELLICER, SALVADOR FRANCISC	135 - Farmacologia

RESUM

L'objectiu d'aquesta matèria és desenvolupar el coneixement i la capacitat de treball i comunicació en l'àmbit de l'anàlisi de la informació actualitzada en els diferents aspectes de la terapèutica. La incorporació de les noves tecnologies de la informació, la comunicació i la cerca bibliogràfica contribuirà a assolir aquests objectius. Entre les activitats formatives, s'hi inclouen aspectes relacionats amb el desenvolupament de les cèl·lules i els gens com a eines terapèutiques, la interpretació dels efectes d'aquests procediments i seminaris especials destinats a l'estudi d'aspectes terapèutics puntuals.

La teràpia gènica i cel·lular es troba en l'actualitat en una fase d'important desenvolupament translacional i ha demostrat el seu interès terapèutic en un nombre significatiu de patologies greus, per a les quals no hi ha teràpies alternatives.



CONEIXEMENTS 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

Es recomana haver cursat les assignatures següents: Anatomia, Biologia, Bioquímica, Fisiologia, Farmacologia general i Patologia genera.

COMPETÈNCIES

RESULTATS DE L'APRENTATGE

En finalitzar l'assignatura l'estudiant haurà de ser capaç de:

1. Conèixer les bases científiques en què s'assenta la terapèutica gènica i cel·lular.
2. Comprendre els aspectes biològics dels gens i les cèl·lules en la seua interacció amb l'organisme humà.
3. Raonar la influència dels gens i les cèl·lules en l'organisme.
4. Comprendre les bases de l'acció dels gens i les cèl·lules en la fisiopatologia de l'ésser humà.
5. Raonar quins efectes tindrà en una hipotètica aplicació terapèutica i quins s'interpretaran com a reaccions adverses en funció del pacient.
6. Conèixer les bases de possibles interaccions entre diferents estratègies en l'organisme amb l'objectiu de prevenir-les en la pràctica mèdica.

DESCRIPCIÓ DE CONTINGUTS

1. UNITATS TEMÀTIQUES TEÒRIQUES

- 1) Antecedents i estat actual de la TGC
- 2) Teràpia gènica somàtica
- 3) Teràpia cel·lular. Tipus cel·lulars
- 4) Transferència nuclear. Medicina regenerativa
- 5) Reemplaçament mitocondrial
- 6) Àcids nucleics terapèutics
- 7) Silenciament gènic: ASO, siRNA
- 8) Implementació/addició gènica
- 9) Edició gènica/reparació
- 10) Vectors virals RNA de teràpia gènica
- 11) Vectors virals DNA de teràpia gènica
- 12) Vectors no virals de teràpia gènica
- 13) Selectivitat del vector terapèutic



- 14) TGC-Malalties hereditàries
- 15) Viroteràpia i viroteràpia gènica
- 16) TGC-Malalties hematològiques
- 17) TGC-Malalties oncològiques
- 18) Immunoteràpia gènica
- 19) TGC-Malalties adquirides i degeneratives Reptes i perspectives de la TGC
- 20) Reptes i perspectives de la TGC

2. PRÀCTIQUES

SEMINARIS:

1. Organització i funcions del genoma.
2. Medicaments gènics. Desenvolupament.
3. Cèl·lules com a medicaments: teràpia mitocondrial
4. Aspectes ètics de la teràpia gènica i cel·lular.
5. Implementació gènica i ús clínic
6. Silenciament gènic i ús clínic
7. Malalties hereditàries i ús clínic
8. Malalties hematològiques i ús clínic
9. Malalties oncològiques i ús clínic
- 10 Immunoteràpia, malalties adquirida i ús clínic

NOTA: A cada seminari es discutirà les qüestions proposades a les classes teòriques impartides amb anterioritat. S'inclouran oportuns exemples actuals de malalties amb la corresponent teràpia gènica aprovada per al seu ús clínic per l'EMA (Agència Europea del Medicament).

VOLUM DE TREBALL

ACTIVITAT	Hores	% Presencial
Seminaris	26,00	100
Classes de teoria	19,00	100
TOTAL	45,00	

METODOLOGIA DOCENT

La metodologia docent recull la translació clínica dels fonaments teòrics de la matèria en dos conjunts d'activitats:

Classes teòriques: el professor introdueix les principals directrius de la matèria en tres grans blocs ben diferenciats: a) l'àmbit d'aplicació (temes 1-5), que és recollit el marc de les denominades teràpies avançades, pretén establir el seu potencial espectre d'actuació; b) els fonaments científics i les eines disponibles (temes 6-11) que permeten avaluar el benefici/risc de la seua utilització amb finalitats terapèutiques; c) L'aplicació clínica de la teràpia gènica i cel·lular en malalties rellevants (temes 12-17) per la seua freqüència o gravetat



La classe comença amb l'exposició dels seus principals objectius i acaba establint una sèrie de qüestions que els alumnes han de respondre de forma breu i per escrit, que han de lliurar en la classe següent. Això estimula el seguiment crític de la classe per part de l'alumne i n'hi afavoreix la participació activa amb la finalitat de resoldre dubtes conceptuals.

Seminaris: a principi de curs es lliuren a l'Aula Virtual els articles (8-10) que cal llegir, resumir i lliurar el resum corresponent, d'acord amb una agenda establerta, i es trien els voluntaris que desitgen exposar el treball en classe per discutir-los-hi.

En els seminaris es pretenen assolir diversos objectius: a) recuperar i matisar els coneixements bàsics previs de l'alumne en matèria de biologia cel·lular, biologia molecular i farmacologia per comprendre millor el fonament del disseny de gens i cèl·lules com a medicaments; b) comprendre que el desenvolupament d'aquestes noves estratègies terapèutiques poden crear conflictes ètics importants que l'alumne ha de saber identificar, exposar i analitzar de forma objectiva; c) que l'alumne adquirisca capacitat i destresa per a llegir, comprendre, exposar i/o discutir de forma crítica els treballs clínics publicats sobre teràpia gènica i cel·lular.

El desenvolupament del seminari recull: a) conèixer les respostes que donen els alumnes (triat pel professor) a les qüestions formulades en la classe teòrica i consensuar les respostes amb la resta de la classe; b) que els alumnes plantegen qualsevol altra qüestió o dubte i que els alumnes, si és possible, intenten resoldre'ls; c) adquirir hàbits i destreses d'actualització en l'avanç translacional de la teràpia gènica i cel·lular en pràctica mèdica.

S'incorporarà la perspectiva de gènere i els objectius de desenvolupament sostenible (ODS) a la docència, sempre que siga possible.

AVALUACIÓ

TEORIA: representa el 50% de la nota. Serà avaluada bé mitjançant l'examen **final oficial**, que consta de 15 preguntes curtes i 2 temes, amb espai limitat a la cara d'un foli per tema, o bé mitjançant l'**avaluació continuada**, que consta de 3-4 exàmens de 5-8 preguntes curtes, i algun d'ells pot incloure també un tema. La puntuació és la següent: fins a 2 punts cada pregunta curta i fins a 5 punts per tema. Les qualificacions es notificaran de forma simultània després de l'examen oficial.

PRÀCTIQUES: 1) Són obligatòries; 2) Representen el 50% de la nota final; 3) L'alumne serà avaluat de forma continuada: assistència/participació (fins a 2 punts), qüestionaris (fins a 1,5 punts) i resums d'articles (fins a 1,5 punts).

És requisit per accedir a l'avançament de convocatòria d'aquesta assignatura que l'estudiant haja cursat la totalitat de les seues pràctiques.

L'assistència a les pràctiques serà obligatòria.

Es recorda als alumnes la importància de fer les enquestes d'avaluació a tot el professorat de les assignatures del grau.



REFERÈNCIES

Bàsiques

- 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>

Complementàries

- 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.