



## FICHA IDENTIFICATIVA

### DATOS DE LA ASIGNATURA

**Código:** 34510

**Nombre:** Terapéutica génica y celular

**Ciclo:** Grado

**Créditos ECTS:** 4,5

**Curso académico:** 2025-26

### TITULACIONES

Titulación	Centro	Curso	Periodo
1204 - Grado en Medicina	Facultat de Medicina i Odontologia	3	Segundo cuatrimestre

### MATERIAS

Titulación	Materia	Carácter
1204 - Grado en Medicina	Optativas	OPTATIVA

### COORDINACIÓN

ALIÑO PELLICER SALVADOR FRANCISC

## 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 / RESULTADOS DE APRENDIZAJE

-

Tener capacidad de trabajar en un contexto internacional.

## 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/reparación
- 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 (HORAS)

### ACTIVIDADES PRESENCIALES

Actividad	Horas
Teoría	19,00
Seminario	26,00
<b>Total horas</b>	<b>45,00</b>

### ACTIVIDADES NO PRESENCIALES

Actividad	Horas
Asistencia a otras actividades	0,00
Elaboración de trabajos individuales o en grupo	10,00
Estudio y trabajo autónomo	30,00
Preparación de clases	10,00
Preparación de actividades de evaluación	8,00
Resolución de casos prácticos	9,50
<b>Total horas</b>	<b>67,50</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.

Se incorporará la perspectiva de género, el respeto a la diversidad 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 actividades prácticas es obligatoria. Se considera que el estudiante cumple con este requisito si ha asistido a un mínimo del 80% de estas actividades y ha justificado adecuadamente la imposibilidad de asistir a las sesiones restantes por la concurrencia de una causa de fuerza mayor. Será imprescindible cumplir con este requisito para aprobar la asignatura.

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



## BIBLIOGRAFÍA

### BÁSICA

- 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>
- Recursos-e Salut:
  - . ClinicalKey Student Medicina, Odontologia y Enfermería [ <https://uv-es.libguides.com/RecursosSalut> ]
  - . Acces Medicina [ [https://uv-es.libguides.com/Access\\_Medicina](https://uv-es.libguides.com/Access_Medicina) ]
  - . Médica Panamericana [ [https://uv-es.libguides.com/Medica\\_Panamericana](https://uv-es.libguides.com/Medica_Panamericana) ]

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