

**FITXA IDENTIFICATIVA****DADES DE L'ASSIGNATURA**

**Codi:** 34510  
**Nom:** Terapèutica gènica i cel·lular  
**Cicle:** Grau  
**Crèdits ECTS:** 4,5  
**Curs acadèmic:** 2025-26

**TITULACIONS**

Titulació	Centre	Curs	Període
1204 - Grau en Medicina	Facultat de Medicina i Odontologia	3	Segon quadrimestre

**MATÈRIES**

Titulació	Matèria	Caràcter
1204 - Grau en Medicina	Optativas	OPTATIVA

**COORDINACIÓ**

ALIÑO PELLICER SALVADOR FRANCISC

**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 s'ha especificat 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 general.

## COMPETÈNCIES / RESULTATS D' APRENENTATGE

### 1204 - Grau en Medicina

Que els estudiants hagen demostrat posseir i comprendre coneixements en una àrea d'estudi que parteix de la base de l'educació secundària general, i se sol trobar a un nivell que, si bé descansa en llibres de text avançats, inclou també alguns aspectes que impliquen coneixements procedents de l'avantguarda del seu camp d'estudi.

## 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 d'ARN de teràpia gènica
- 11) Vectors virals d'ADN 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
- 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.
6. Silenciament gènica.
7. Malalties hereditàries.
8. Malalties hematològiques.
9. Malalties oncològiques.

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 (HORES)

### ACTIVITATS PRESENCIALS

Activitat	Hores
Teoria	19,00
Seminari	26,00
<b>Total hores</b>	<b>45,00</b>

### ACTIVITATS NO PRESENCIALS

Activitat	Hores
Assistència a altres activitats	0,00
Elaboració de treballs individuals o en grup	10,00
Estudi i treball autònom	30,00
Preparació de classes	10,00
Preparació d'activitats d'avaluació	8,00
Resolució de casos pràctics	9,50
<b>Total hores</b>	<b>67,50</b>

## 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 (triats 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, el respecte a la diversitat 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 activitats pràctiques és obligatòria. Es considera que l'estudiant complix amb este requisit si ha assistit a un mínim del 80% d'estes activitats i ha justificat adequadament la impossibilitat d'assistir a les sessions restants per la concurrència d'una causa de força major. Serà imprescindible complir amb este requisit per a aprovar l'assignatura.



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

## BIBLIOGRAFIA

### 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.