

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

Codi: 34510
Nom: Terapèutica gènica i cel·lular
Cicle: Grau
Crèdits ECTS: 4,5
Curs acadèmic: 2026-27

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 gènic.
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
Total hores	45,00

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
Total hores	67,50

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, 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
- 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]
 - . Médica 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.