

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

Codi: 43033
Nom: Fonaments de teràpia gènica
Cicle: Màster Universitari Oficial / Postgrau doctorat
Crèdits ECTS: 3
Curs acadèmic: 2025-26

TITULACIONS

Titulació	Centre	Curs	Període
2138 - Màster Universitari en Investigació i Ús Racional del Medicament	Facultat de Farmàcia i Ciències de L'alimentació	1	Anual

MATÈRIES

Titulació	Matèria	Caràcter
2138 - Màster Universitari en Investigació i Ús Racional del Medicament	Fonaments de Teràpia Gènica	OPTATIVA

COORDINACIÓ

HERRERO CERVERA MARÍA JOSÉ

RESUM

L'assignatura pretén donar a conèixer les noves possibilitats que ofereix el coneixement del genoma humà en relació amb la optimització terapèutica, el desenvolupament de nous medicaments i el potencial terapèutic dels gens i / o àcids nucleics utilitzats com a medicaments. Aborda els conceptes bàsics integrats de la Farmacologia amb els coneixements de la Biologia Molecular. Es pretén introduir per un costat les bases de la Farmacogenètica i Farmacogenòmica en relació amb l'ús racional del medicament i com un pilar d'interès en la terapèutica individualitzada. D'altre costat, s'introdueixen els conceptes necessaris per a comprendre els procediments de Transferència de gens mitjançant la utilització de procediments físics o el concurs de vectors virals i no virals. Es aborda la teràpia gènica amb projecció clínica a tota la seva dimensió, bé utilitzant cèl·lules somàtiques (o troncales diferenciades) o cèl·lules modificades genèticament. S'aprofundeix en el potencial terapèutic de aquests nous procediments, així com en l'eficàcia i riscos dels mateixos i els problemes ètics que la seva utilització suscita.

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

Interès per les noves estratègies terapèutiques. Avideses per conèixer l'impacte del coneixement del genoma sobre la salut i la malaltia. Aspirar a conèixer el fonament del desenvolupament dels àcids nucleics com a font de nous medicaments. Desitjar comprendre el diàleg entre els medicaments gènics i el genoma de l'individu amb la finalitat reparar i / o restablir funcions perdudes o introduir-ne de noves amb finalitats terapèutiques. Desitjar conèixer quines són les tendències actuals sobre teràpies avan

COMPETÈNCIES / RESULTATS D' APRENTATGE

-

Capacitat de seleccionar i gestionar els recursos disponibles (instrumentals i humans) per a optimitzar resultats en investigació.

Dominar la comunicació científica. Posseir habilitats socials i comunicatives en la pràctica assistencial.

Manejar adequadament les fonts d'informació biomèdica i posseir l'habilitat de fer una valoració crítica d'aquestes integrant la informació per aportar coneixements a grups assistencials multidisciplinaris.

Posseir i comprendre coneixements que aportin una base o oportunitat de ser originals en el desenvolupament i / o aplicació d'idees, sovint en un context de recerca.

Que els estudiants posseïsquen les habilitats d'aprenentatge que els permeten continuar estudiant d'una forma que haurà de ser en gran manera autodirigida o autònoma.

Que els estudiants sàpiguen comunicar les conclusions (i els coneixements i les raons últimes que les sustenten) a públics especialitzats i no especialitzats d'una manera clara i sense ambigüitats.

Resoldre de dilemes ètics derivats de l'ocupació de medicaments.

Saber redactar i preparar presentacions per posteriorment exposar-les i defensar-les.

Ser capaços d'accedir a ferramentes d'informació en altres àrees del coneixement i utilitzar-les apropiadament.

Ser capaços d'accedir a la informació necessària (bases de dades, articles científics, etc.) i tenir prou criteri per a la seua interpretació i utilització.

DESCRIPCIÓ DE CONTINGUTS

En aquesta unitat es pretén introduir i desenvolupar l'impacte que el coneixement sobre el genoma té sobre la salut i la malaltia. S'introdueix els conceptes de Farmacogenètica i farmacogenòmic i es valora la importància de l'optimització de la resposta del pacient als fàrmacs convencionals en base a les característiques genètiques de l'individu. Així mateix s'introdueix el concepte de la utilització dels àcids nucleics com a medicaments i els fonaments moleculars de la teràpia gènica en base al disseny i



1. Fonaments moleculars de la teràpia gènica

construcció de gens traçadors i terapèutics.

2. Vectors, estratègies i procediments de teràpia gènica

En aquesta unitat es pretenc donar a conèixer nenes especials característiques que tenen els àcid nucleics per a ser dissenyats com medicaments i en aquest sentit, ell ús de vectors és un requisit important perquè els àcids nucleics puguin arribar a destinació terapèutic amb eficàcia. S'analitzen i discuteixen els diferents tipus de vectors disponibles (virals i no virals) així com els avantatges i inconvenients de cada un d'ells, per tal de tenir criteri per seleccionar el més adequat en base a cada patologia o objectiu concret que es predte . Es van definir i mostra els principals tipus de disseny i procediments de utilitzación in vivo o ex vivo de la teràpia gènica i el seu perfil de seguretat.

3. Eficàcia de la teràpia gènica

En aquesta unitat es mostra el valor terapèutic de la teràpia gènica, utilitzant models experimentals. D'una banda, es valora la importància i la implicació que té en les malalties hereditàries la introducció de nous gens a les cèl·lules per tal de restablir funcions perdudes i com en els casos en aquesta pèrdua de funció és compensada pel nou gen, la cèl·lula pot recuperar la seva normalitat. Es mostra que la introducció de noves funcions en cèl·lules normals pot contribuir assolir objectius terapèutics sistèmics. D'altra banda, es valora la importància del silenciament gènic com un procediment de teràpia gènica destinat a bloquejar la funció d'un gen mutat, l'expressió és responsable de la patologia. Finalment s'aborda els procediments destinats a reparar mutacions en el genoma, amb l'avantatge que suposa que el gen reparat pot exercir la seva funció amb gran eficàcia i seguretat.

4. Projecció clínica de la teràpia gènica

En aquesta unitat es pretén donar a conèixer els medicaments genètics ja comercialitzats i l'estat actual dels assajos clínics realitzats en humans. En aquests casos, es valora la seva eficàcia i seguretat d'ús en diferents malalties de caràcter hereditari o adquirit, així com el seu interès en el desenvolupament de vacunes gèniques o vacunes-ADN i vacunes amb cèl·lules modificades genèticament.

5. Aspectes ètics i legals de la teràpia gènica

La modificació i/o manipulació genètica de les cèl·lules té implicacions socials de caràcter ètic i legislatiu importants. S'aborden temes relacionats amb la confidencialitat de la informació genètic obtinguda, el dret a saber i no saber del pacient, els límits de la manipulació genètica de cèl·lules somàtiques o germinals, així com l'ús de cèl·lules embrionàries, la clonació reproductiva o terapèutica, la producció de cèl·lules troncales induïbles, híbrids, etc.

VOLUM DE TREBALL (HORES)

**ACTIVITATS PRESENCIALS**

Activitat	Hores
Teoria	17,50
Seminari	3,50
Total hores	21,00

ACTIVITATS NO PRESENCIALS

Activitat	Hores
Assistència a altres activitats	0,00
Elaboració de treballs individuals o en grup	0,00
Estudi i treball autònom	0,00
Preparació de classes	0,00
Preparació d'activitats d'avaluació	0,00
Resolució de casos pràctics	0,00
Total hores	0,00

METODOLOGIA DOCENT

- 1) Classes teòriques basades en lliçó magistral participativa mitjançant el plantejament de qüestions
- 2) Seminaris presentats per l'alumne sobre temes oferts pel professor, sota l'orientació i tutela
- 3) Discussió d'assaigs clínics i / o articles científics, moderada pel professor
- 4) Debats sobre qüestions sensibles, ètiques o legals derivades de la teràpia gènica humana
- 5) Conferències d'experts
- 6) Resolució de qüestions plantejades en línia

Per a completar les hores presencials s'adaptaran els materials previstos per a la docència presencial, de manera que l'estudiant pugui accedir a elles en qualsevol moment. Utilització del fòrum de l'Aula virtual per a atendre els dubtes. Per a les sessions de Pràctiques del contingut teòric es combinarà la utilització de videoconferències i/o la realització dels exercicis proposats mitjançant l'opció "Tasca" de l'aula virtual.

Durant les activitats, tant teòriques com pràctiques, s'han d'indicar les aplicacions dels continguts de l'assignatura en relació amb els objectius de desenvolupament sostenible (ODS). Amb això es pretén proporcionar coneixements, habilitats i motivació per comprendre i abordar aquests ODS, alhora que es promou la reflexió i la crítica.

AVALUACIÓ

- 1) Evaluación formativa: Problemas y cuestiones 40%
- 2) Evaluación final: Examen teórico: 40%
- 3) Trabajo: 20%



BIBLIOGRAFIA

- - Artículos y revisiones en revistas especializadas en el tema: - Gene Therapy - Human Gene Therapy - Cancer Gene Therapy - Journal of Gene Medicine - Molecular Therapy