

Guía docente de la asignatura

**Terapia Génica y Celular**Fecha última actualización: 15/07/2021  
Fecha de aprobación por la Comisión Académica: 22/07/2021**Máster**

Máster Universitario en Genética y Evolución

**MÓDULO**

Módulo Docente. Especialidad Biosanitaria

**RAMA**

Ciencias

**CENTRO RESPONSABLE DEL TÍTULO**

Escuela Internacional de Posgrado

<b>Semestre</b>	Segundo	<b>Créditos</b>	4	<b>Tipo</b>	Optativa	<b>Tipo de enseñanza</b>	Presencial
-----------------	---------	-----------------	---	-------------	----------	--------------------------	------------

**BREVE DESCRIPCIÓN DE CONTENIDOS (Según memoria de verificación del Máster)**

Terapia génica. Estrategias de modificación genética. Vectores de transferencia génica: físicos y biológicos. Células diana (células objeto de la modificación genética): células diferenciadas y células multipotenciales y pluripotenciales. Enfermedades donde la terapia génica tiene potencial terapéutico.

**COMPETENCIAS****COMPETENCIAS BÁSICAS**

- CB6 - Poseer y comprender conocimientos que aporten una base u oportunidad de ser originales en desarrollo y/o aplicación de ideas, a menudo en un contexto de investigación.
- CB7 - Que los estudiantes sepan aplicar los conocimientos adquiridos y su capacidad de resolución de problemas en entornos nuevos o poco conocidos dentro de contextos más amplios (o multidisciplinares) relacionados con su área de estudio.
- CB8 - Que los estudiantes sean capaces de integrar conocimientos y enfrentarse a la complejidad de formular juicios a partir de una información que, siendo incompleta o limitada, incluya reflexiones sobre las responsabilidades sociales y éticas vinculadas a la aplicación de sus conocimientos y juicios.
- CB9 - Que los estudiantes sepan comunicar sus conclusiones y los conocimientos y razones últimas que las sustentan a públicos especializados y no especializados de un modo claro y sin ambigüedades.



- CB10 - Que los estudiantes posean las habilidades de aprendizaje que les permitan continuar estudiando de un modo que habrá de ser en gran medida autodirigido o autónomo.

### COMPETENCIAS GENERALES

- CG01 - Adquirir una comprensión sistemática de los distintos campos de estudio de la Genética y de la Biología evolutiva y un dominio en las habilidades y métodos de investigación propios de estas disciplinas científicas y de sus aplicaciones.
- CG02 - Aplicar a entornos nuevos o poco conocidos, dentro de contextos más amplios o multidisciplinares, los conocimientos adquiridos y su capacidad de resolución de problemas relacionados con el área de estudio de las distintas ramas de la Genética y de la Biología evolutiva.
- CG03 - Desarrollar habilidades de análisis y síntesis de la información científica, incluyendo capacidades de comprensión, razonamiento y crítica científica, así como de expresión oral, debate y argumentación lógica.
- CG04 - Elaborar adecuadamente y con cierta originalidad composiciones escritas o argumentos motivados, redactar planes, proyectos de investigación y artículos científicos.
- CG05 - Formular con cierta originalidad hipótesis razonables.
- CG06 - Integrar conocimientos y enfrentarse a la complejidad de formular juicios a partir de una información que, siendo incompleta o limitada, incluya reflexiones sobre las responsabilidades sociales y éticas vinculadas a la aplicación de sus conocimientos y juicios.
- CG07 - Comunicar sus conclusiones -y los conocimientos y razones últimas que las sustentan- a públicos especializados y no especializados de un modo claro y sin ambigüedades.
- CG08 - Desarrollar habilidades de aprendizaje que les permitan continuar estudiando de un modo que habrá de ser en gran medida autodirigido o autónomo.
- CG09 - Aplicar el método científico en la investigación.
- CG10 - Trabajar eficazmente en equipo.
- CG11 - Trabajar de forma organizada y planificada.
- CG12 - Demostrar motivación por la calidad.
- CG13 - Tener creatividad.
- CG14 - Incrementar la conciencia social y solidaria, así como el sentido ético de la ciencia y de sus aplicaciones.
- CG15 - Aplicar los conocimientos adquiridos al desarrollo futuro de actividades profesionales en el campo de la investigación.

### COMPETENCIAS ESPECÍFICAS

- CE09 - Comprender y saber aplicar las tecnologías utilizadas en genética y genómica en el área biosanitaria.
- CE10 - Comprender las posibilidades y las limitaciones de las aproximaciones genéticas y genómicas en el área biosanitaria.
- CE11 - Integrar la información genómica y de diagnóstico en los trastornos genéticos.
- CE12 - Adquirir el conocimiento sobre las bases biológicas de las enfermedades genéticas.
- CE13 - Relacionar el genoma humano y la individualidad genética.
- CE14 - Adquirir los conocimientos de la medicina genómica y saber aplicarlos.
- CE15 - Integrar la genética y la genómica con la terapéutica.
- CE16 - Interpretar los perfiles genéticos obtenidos en un análisis molecular.
- CE17 - Aplicar los conocimientos adquiridos al desarrollo futuro de actividades



profesionales en el campo de la biomedicina.

### COMPETENCIAS TRANSVERSALES

- CT01 - Mostrar interés por la calidad y la excelencia en la realización de diferentes tareas.
- CT02 - Tener un compromiso ético y social en la aplicación de los conocimientos adquiridos.
- CT03 - Ser capaz de trabajar en equipos interdisciplinarios para alcanzar objetivos comunes desde campos expertos diferenciados

### RESULTADOS DE APRENDIZAJE (Objetivos)

#### OBJETIVOS GENERALES:

- CT1. Adquirir una comprensión sistemática de los distintos campos de estudio de la Genética y de la Biología evolutiva y un dominio en las habilidades y métodos de investigación propios de estas disciplinas científicas y de sus aplicaciones.
- CT2. Aplicar a entornos nuevos o poco conocidos, dentro de contextos más amplios o multidisciplinares, los conocimientos adquiridos y su capacidad de resolución de problemas relacionados con el área de estudio de las distintas ramas de la Genética y de la Biología evolutiva.
- CT3. Desarrollar habilidades de análisis y síntesis de la información científica, incluyendo capacidades de comprensión, razonamiento y crítica científica, así como de expresión oral, debate y argumentación lógica.
- CT4. Elaborar adecuadamente y con cierta originalidad composiciones escritas o argumentos motivados, redactar planes, proyectos de investigación y artículos científicos.
- CT5. Formular con cierta originalidad hipótesis razonables.
- CT6. Integrar conocimientos y enfrentarse a la complejidad de formular juicios a partir de una información que, siendo incompleta o limitada, incluya
- TERAPIA GÉNICA Y CELULAR  
GUIA DOCENTE DE LA MATERIA  
Página 2
- reflexiones sobre las responsabilidades sociales y éticas vinculadas a la aplicación de sus conocimientos y juicios.
- CT7. Comunicar sus conclusiones –y los conocimientos y razones últimas que las sustentan– a públicos especializados y no especializados de un modo claro y sin ambigüedades.
- CT8. Desarrollar habilidades de aprendizaje que les permitan continuar estudiando de un modo que habrá de ser en gran medida autodirigido o autónomo.
- CT9. Aplicar el método científico en la investigación.
- CT10. Trabajar eficazmente en equipo.
- CT11. Trabajar de forma organizada y planificada.
- CT12. Demostrar motivación por la calidad.
- CT13. Tener creatividad.
- CT14. Incrementar la conciencia social y solidaria, así como el sentido ético de la ciencia y de sus aplicaciones.
- CT15. Aplicar los conocimientos adquiridos al desarrollo futuro de actividades profesionales en el campo de la investigación.



### OBJETIVOS ESPECÍFICOS:

- CEB1. Comprender y saber aplicar las tecnologías utilizadas en genética y genómica en el área biosanitaria.
- CEB2. Comprender las posibilidades y las limitaciones de las aproximaciones genéticas y genómicas en el área biosanitaria.
- CEB3. Integrar la información genómica y de diagnóstico en los trastornos genéticos.
- CEB4. Adquirir el conocimiento sobre las bases biológicas de las enfermedades genéticas.
- CEB5. Relacionar el genoma humano y la individualidad genética.
- CEB6. Adquirir los conocimientos de la medicina genómica y saber aplicarlos.
- CEB7. Integrar la genética y la genómica con la terapéutica.
- CEB8. Interpretar los perfiles genéticos obtenidos en un análisis molecular.
- CEB9. Aplicar los conocimientos adquiridos al desarrollo futuro de actividades profesionales en el campo de la biomedicina.

### RESULTADOS ESPERABLES:

#### GENERALES

- CT1. Adquirir una comprensión sistemática de los distintos campos de estudio de la Genética y de la Biología evolutiva y un dominio en las habilidades y métodos de investigación propios de estas disciplinas científicas y de sus aplicaciones.
- CT2. Aplicar a entornos nuevos o poco conocidos, dentro de contextos más amplios o multidisciplinares, los conocimientos adquiridos y su capacidad de resolución de problemas relacionados con el área de estudio de las distintas ramas de la Genética y de la Biología evolutiva.
- CT3. Desarrollar habilidades de análisis y síntesis de la información científica, incluyendo capacidades de comprensión, razonamiento y crítica científica, así como de expresión oral, debate y argumentación lógica.
- CT4. Elaborar adecuadamente y con cierta originalidad composiciones escritas o argumentos motivados, redactar planes, proyectos de investigación y artículos científicos.
- CT5. Formular con cierta originalidad hipótesis razonables.
- CT6. Integrar conocimientos y enfrentarse a la complejidad de formular juicios a partir de una información que, siendo incompleta o limitada, incluya reflexiones sobre las responsabilidades sociales y éticas vinculadas a la aplicación de sus conocimientos y juicios.
- CT7. Comunicar sus conclusiones –y los conocimientos y razones últimas que las sustentan– a públicos especializados y no especializados de un modo claro y sin ambigüedades.
- CT8. Desarrollar habilidades de aprendizaje que les permitan continuar estudiando de un modo que habrá de ser en gran medida autodirigido o autónomo.
- CT9. Aplicar el método científico en la investigación.
- CT10. Trabajar eficazmente en equipo.
- CT11. Trabajar de forma organizada y planificada.
- CT12. Demostrar motivación por la calidad.
- CT13. Tener creatividad.
- CT14. Incrementar la conciencia social y solidaria, así como el sentido ético de la ciencia y de sus aplicaciones.
- CT15. Aplicar los conocimientos adquiridos al desarrollo futuro de actividades profesionales en el



campo de la investigación.

**ESPECÍFICAS:**

CEB1. Comprender y saber aplicar las tecnologías utilizadas en genética y genómica en el área biosanitaria.

CEB2. Comprender las posibilidades y las limitaciones de las aproximaciones genéticas y genómicas en el área biosanitaria.

CEB3. Integrar la información genómica y de diagnóstico en los trastornos genéticos.

CEB4. Adquirir el conocimiento sobre las bases biológicas de las enfermedades genéticas.

CEB5. Relacionar el genoma humano y la individualidad genética.

CEB6. Adquirir los conocimientos de la medicina genómica y saber aplicarlos.

CEB7. Integrar la genética y la genómica con la terapéutica.

CEB8. Interpretar los perfiles genéticos obtenidos en un análisis molecular.

CEB9. Aplicar los conocimientos adquiridos al desarrollo futuro de actividades profesionales en el campo de la biomedicina.

## PROGRAMA DE CONTENIDOS TEÓRICOS Y PRÁCTICOS

### TEÓRICO

#### Tema 1. 1- INTRODUCCIÓN A LA TERAPIA GÉNICA: VECTORES NO VIRALES (I)

1.1 Método físicos de transfección

1.2 Métodos bioquímicos de transfección

#### Tema 2. INTRODUCCIÓN A LA TERAPIA GÉNICA: VECTORES VIRALES (II)

2.1 Vectores integrativos

2.2 Vectores episomales

#### Tema 3 ESTRATEGIAS TERAPÉUTICAS (I): TIPOS DE GENES TERAPÉUTICOS DEPENDIENDO DE LA ENFERMEDAD DIANA.

3.1 Reconstitución funcional

3.2 Eliminación del gen causante de la enfermedad

3.3 Genes citotóxicos

3.4 Genes inmunomoduladores

#### Tema 4 ESTRATEGIAS TERAPÉUTICAS (II): CÉLULAS DIANA Y APLICACIÓN DE LOS VECTORES.



- 4.1 Terapia Génica In vivo
- 4.2 Terapia Génica Ex vivo (terapia celular-génica)

Tema 5. ÉXITOS RECIENTES DE LA TERAPIA GÉNICA.

## PRÁCTICO

TEMARIO PRÁCTICO:

Seminarios/Talleres

- Presentación y discusión de artículos relacionados con los potenciales beneficios y peligros de la terapia génica
- Prácticas de Laboratorio

Práctica 1. Expansión células empaquetadoras y transfección de plásmidos para producción de vectores lentivirales expresando GFP

Práctica 2. Recogida de vectores lentivirales y transducción de células diana

Práctica 3. Recogida de las células modificadas genéticamente y análisis por citometría de flujo

## BIBLIOGRAFÍA

### BIBLIOGRAFÍA FUNDAMENTAL

- [Gene therapy returns to centre stage.](#) Naldini L. Nature. 2015 Oct 15;526(7573):351-60. doi: 10.1038/nature15818. PMID: 26469046
- GENE THERAPY: TOOLS AND POTENTIAL APPLICATIONS. INTECH EDITED BY FRANCISCO MARTIN. ISBN: 978-953-51-1014-9
- [Gene therapy clinical trials worldwide to 2017: An update.](#) Ginn SL, Amaya AK, Alexander IE, Edelstein M, Abedi MR. J Gene Med. 2018 May;20(5):e3015. doi: 10.1002/jgm.3015. Epub 2018 Apr 19.

### BIBLIOGRAFÍA COMPLEMENTARIA

- ENGINEERING TARGETED VIRAL VECTORS FOR GENE THERAPY. Waehler R, Russell SJ, Curiel DT. Nat Rev Genet. 2007 Aug;8(8):573-87.
- Externally-controlled systems for immunotherapy: from bench to bedside. Tristán-Manzano ET AL. Frontiers in Immunology. 2020;11:2044 PMID: 33013864 PMCID: [PMC7498544](#) DOI: [10.3389/fimmu.2020.02044](#)
- Using Gene Editing Approaches to Fine-Tune the immune system. Pavlovic et al. Frontiers in Immunology. 2020;11:570672. PMID: 33117361 DOI: [10.3389/fimmu.2020.570672](#)





## ENLACES RECOMENDADOS

<https://www.esgct.eu/>

<https://www.setgyc.es/>

<https://asgct.org/>

<http://www.intechopen.com/books/gene-therapy-tools-and-potential-applications/gene-therapy-for-primary-immunodeficiencies>

## METODOLOGÍA DOCENTE

- MD01 Lección magistral/expositiva
- MD02 Sesiones de discusión y debate
- MD03 Resolución de problemas y estudio de casos prácticos
- MD04 Prácticas de laboratorio o clínicas
- MD05 Seminarios
- MD06 Ejercicios de simulación
- MD07 Análisis de fuentes y documentos
- MD09 Realización de trabajos individuales

## EVALUACIÓN (instrumentos de evaluación, criterios de evaluación y porcentaje sobre la calificación final)

### EVALUACIÓN ORDINARIA

Se propone un sistema de evaluación continua en el que se valorará:

1. Adquisición de las competencias, aptitudes y conocimientos propios de cada materia, mediante exámenes de su valoración. = 30%
2. Las aportaciones del alumno en: a) Las Sesiones de Discusión en términos de ideas interesantes, dudas, y cualquier intervención que demuestre su interés por la materia y su estudio continuado a lo largo del curso. b) La actitud del alumno en el laboratorio durante las Prácticas de Laboratorio, su interés por aprender las técnicas y su destreza con éstas. c) La actitud del alumno en el aula durante las Prácticas con ordenador, su interés por aprender los procedimientos y su destreza con éstos. = 10%
3. Realización de ejercicios propuestos tanto para su resolución en clase como para su realización en horas no presenciales. Igualmente, se valorará la capacidad del alumno para la elaboración de trabajos e informes. = 30%
4. Capacidad de análisis y de síntesis de cada alumno en los actividades de búsqueda bibliográfica (análisis de trabajos científicos, trabajos en equipo,





seminarios), así como la claridad en la exposición de su trabajo. = 30%

**EVALUACIÓN EXTRAORDINARIA**

**EVALUACIÓN ÚNICA FINAL**

