



Asignatura: Terapia génica y celular (BMM3)/ [Gene and cell therapy](#)
Código: 31049
Centro: Medicina
Titulación: Máster en Biomedicina Molecular / Master in Molecular Biomedicine
Nivel: Máster
Tipo: Optativa
Nº de Créditos: 6 ECTS
Curso académico: 2017-2018

1. ASIGNATURA / [COURSE TITLE](#)

TERAPIA GÉNICA Y CELULAR (BMM3)
[GENE AND CELL THERAPY \(BMM3\)](#)

1.1. Código / [Course number](#)

31049

1.2. Materia/ [Content area](#)

TERAPIA GÉNICA Y CELULAR (BMM3)
[GENE AND CELL THERAPY \(BMM3\)](#)

1.3. Tipo / [Course type](#)

Optativo / [Optional](#)

1.4. Nivel / [Course level](#)

Máster / [Master](#)

1.5. Curso / [Year](#)

1º / [1st](#)

1.6. Semestre / [Semester](#)

Primero / [First](#)

1.7. Idioma / [Language](#)

Inglés / [English](#)

1.8. Requisitos previos / [Prerequisites](#)

Los propios para la admisión al Programa.
La asignatura se impartirá íntegramente en inglés por lo que se requiere el conocimiento suficiente de este idioma.

[Those required for admission to the Programme.](#)



Asignatura: Terapia génica y celular (BMM3)/ [Gene and cell therapy](#)
Código: 31049
Centro: Medicina
Titulación: Máster en Biomedicina Molecular / Master in Molecular Biomedicine
Nivel: Máster
Tipo: Optativa
Nº de Créditos: 6 ECTS
Curso académico: 2017-2018

The lectures and seminars will be given in English so a good knowledge of this language is required

1.9. Requisitos mínimos de asistencia a las sesiones presenciales/ [Minimun attendance requirement](#)

Será obligatorio asistir al menos al 40% de las clases y seminarios. [Attendance to 40% of lectures and seminars, will be compulsory.](#)

1.10. Datos del equipo docente / [Faculty data](#)

Nombre del profesor/es que imparte/n el módulo:
Profesora Coordinadora:

Marta Izquierdo Rojo (Dpto. Biología Molecular UAM)
marta.izquierdo@uam.es

Profesores participantes:

Antonio Rodríguez Márquez (Dpto. Biología Molecular UAM)
a.rodriguez@uam.es

Isabel Liste (Unidad Regeneración Neural, ISCIII)
iliste@isciii.es

Filip Lim (Dpto. Biología Molecular)
Filip.lim@uam.es

[Professor/s that will be teaching the module:](#)

[Coordinating Professor:](#)

Marta Izquierdo Rojo (Dept. of Molecular Biology, UAM)
marta.izquierdo@uam.es

[Collaborating professors:](#)

Antonio Rodríguez Márquez (Dept. of Molecular Biology, UAM)
a.rodriguez@uam.es

Isabel Liste (Unidad Regeneración Neural, ISCIII)
iliste@isciii.es

Filip Lim (Dept. of Molecular Biology, UAM)
filip.lim@uam.es



Asignatura: Terapia génica y celular (BMM3)/ [Gene and cell therapy](#)
Código: 31049
Centro: Medicina
Titulación: Máster en Biomedicina Molecular / Master in Molecular Biomedicine
Nivel: Máster
Tipo: Optativa
Nº de Créditos: 6 ECTS
Curso académico: 2017-2018

1.11. Objetivos del curso / [Course objectives](#)

Objetivos a adquirir durante el curso:

El objetivo general de la asignatura es proporcionar al estudiante unos principios sólidos sobre enfermedades tratables mediante procedimientos génicos y/o celulares, las distintas herramientas de las que se dispone en la actualidad, cómo desarrollar estos estudios, así como entender su evaluación.

El estudiante, al finalizar el curso habrá aprendido si una determinada enfermedad puede ser susceptible de terapia génica y/o celular, cuál/cuáles serían los mejores métodos para administrarla, cómo evaluar el resultado terapéutico. Asimismo, el estudiante habrá entendido los pasos necesarios de investigación básica, pre-clínica y clínica necesarios para desarrollar futuras terapias.

Una vez finalizado el curso, el estudiante será competente para realizar las tareas de investigación propias del desarrollo de nuevas terapias, aplicación de las ya existentes, y asesoramiento/diseño y análisis de los resultados obtenidos en clínica al llevar a cabo nuevos ensayos.

[The overall objective of this course is to acquire an advanced understanding of the applications of Biochemistry and Molecular Biology to the diagnosis, therapeutics and prevention of human diseases, with an emphasis on gene and cellular therapies.](#)

[After completing this course, students should be able to have a thorough and updated knowledge and a critical view of the main mechanisms of gene and celular therapy, and to understand the current problems of the translation of results from basic research to pre-clinical and clinical tials. Also the students will develop their ability to present orally scientific work in a clear and concise manner, as well as acquire the knowledge and ability they will need to identify problems, and find practical and creative solutions in research or professional context in the field of cellular gene therapy.](#)

1.12. Contenidos del programa / [Course contents](#)

Contenido:

CONTENIDOS TEORICOS



1. Bloque de conceptos fundamentales:

- Concepto de terapias génica y celular
- Vectores para terapia génica y celular
- Terapia génica y celular. Requisitos para llegar a un ensayo clínico.
- Enfermedades susceptibles de recibir una terapia génica o celular.

2. Terapia Génica:

- Definición y tipos de terapias génicas. Enfermedades monogénicas y multigénicas susceptibles de terapia génica. Terapia génica *in vivo* y *ex vivo*. Problemas promesas y perspectivas.
- Vectores de transferencia génica. Tipos de vectores: sus propiedades, integración o no y duración de la expresión del transgen.
 - Plásmidos
 - Vectores gammaretrovirales y lentivirales
 - Distintas generaciones de vectores basados en Adenovirus
 - Vectores derivados de virus Adeno-asociados.
 - Vectores derivados de Herpesvirus
 - Otros
- Ventajas e inconvenientes de los distintos tipos de vectores y aplicabilidad para distintas enfermedades. Posibles problemas derivados de los vectores utilizados.
- Pasos a seguir para realizar una terapia génica. Ejemplos de enfermedades tratadas con éxito en la actualidad mediante terapia génica. Descripción de la enfermedad, etiología, bases para su tratamiento, técnicas usadas, evaluación resultados terapéuticos. Ejemplos de enfermedades que aún no han llegado a la fase clínica.
- Terapias génicas prometedoras como la cirugía génica, sus problemas y limitaciones a día de hoy.

3. Terapia Celular:

- Definición de célula madre. Tipos y propiedades de células madre atendiendo a su potencial (toti, multi y pluripotencialidad) y a su origen (adultas o embrionarias).
- Ventajas e inconvenientes de los distintos tipos de células madre y aplicabilidad terapéutica para distintas enfermedades.
- Concepto de enfermedad susceptible de una terapia celular: Parkinson, Diabetes, etc.
- Tipos celulares utilizables en terapia: Células hES, Células fetales, Células de adulto, otras posibilidades, como: células de cordón umbilical, células de piel o derivadas de biopsias.



- Concepto de célula terapéutica. Nociones acerca de su posibilidad de implantación, minimizar rechazo inmune, restauración de la función fisiológica perdida, etc.
- Modos de implantación: Célula desnuda frente a célula encapsulada. Ausencia de problemas causados por el implante. Y, en caso de haberlos, ¿cómo se solucionan? Genes suicidas. Retirada de cápsulas.
- Ejemplos de enfermedades tratadas en la actualidad mediante terapia celular. Descripción de la enfermedad, etiología, bases para su tratamiento, técnicas usadas, evaluación resultados terapéuticos

Course content:

THEORETICAL CONTENT

1. Basic Concept Block:

- The concepts of gene and cellular therapies.
- Vectors used in gene and cellular therapies.
- Gene and cell therapy. Steps before a clinical trial.
- Diseases that are candidates for gene or cell therapy.

2. Gene Therapy:

- Definition and types of gene therapy. Monogenic and multigenic disease candidates for gene therapy. Gene therapy *in vivo* and *ex vivo*. Promises, problems and prospects.
- Gene transfer vectors. Types of vectors: their properties, integration or no integration, and the duration of transgene expression.
 - Plasmids
 - Gamma-retroviral and lentiviral vectors
 - Different generations of vectors based on Adenovirus
 - Vectors derived from Herpes viruses
 - Vectors derived from Adeno-associated viruses.
 - Others
- Advantages and disadvantages of different types of vectors and their applicability in different diseases. Possible problems derived from the use of vectors.
- Steps to follow for a clinical trial. Animal models of diseases that are candidates for gene therapy. Examples of diseases that are currently treated successfully by gene therapy. Description of each disease, the rationale behind their treatment, the techniques used and the evaluation of therapeutic results. Examples of diseases that did not yet reach a clinical trial.



- Promising therapies such as gene surgery, problems and limitations at present.

3. Cell Therapy:

- Stem cell. Properties and different types of stem cells according to origin (embryonic or adult) and potency (total or partial).
- Advantages and disadvantages of the different stem cells and their therapeutic use in different pathologies.
- The concept of a disease as a candidate for cell therapy: Parkinson's disease, Diabetes, etc.
- Types of cells used in therapy: hES Cells, foetal Cells, adult Cells. Other possibilities, such as umbilical cord cells, skin cells, or cells derived from biopsies.
- The concept of the therapeutic cell. Notions about their possible implantation, minimizing immune rejection, restoring lost physiological function, etc.
- Modes of implantation: The naked cell as opposed to the encapsulated cell. Absence of problems caused by an implant. Where problems occur and how they can be solved. Suicide genes. Capsule removal.
- Examples of diseases that are currently treated using cell therapy. Description of each disease, its etiology, the rationale for its treatment, techniques used and the evaluation of therapeutic results.

1.13. Referencias de consulta / [Course bibliography](#)

- Gene Therapy. Mauro Giacca. Springer 2010
- Viral vectors for gene therapy. Springer Protocols (2011) Series: Methods in Molecular Biology Volume No.: 737 ISBN: 978-1-61779-094-2 © Springer Science+Business Media, LLC 2011
- Cell Therapy. Editors: Damian García Olmo, JM García Verdugo, Jorge Alemany and José A. Gutiérrez Fuentes (2007). Ed. McGraw-Hill/Interamericana. ISBN: 978-84-481-6702-8
- Perspectives of Stem Cells. Henning Ulrich. Springer, 2010
- Human Stem Cell Technology and Biology. Gary Stein, Maria Borowski, Mai Luong, Meng Shi, Kelly Smith & Priscilla Vazquez
- Wiley-Blackwell, 2011
- Curso de Genética Molecular e ingeniería genética. Marta Izquierdo (2014) Ediciones Pirámide



- Revisiones/ [Reviews](#):
- Gene therapy for PIDs: Progress, Pitfalls and Prospects. Mukherjee S, Thrasher AJ. (2013) *Gene*. 2013 Apr 5. pii: S0378-1119(13)00367-3. doi: 10.1016/j.2013.03.098.
- Gene therapy with viral vectors Annu. Rev. Pharmacol. Toxicol. (2003). 43:413-39 doi: 10.1146/annurev.pharmtox.43.100901.140257 PMID:12359866
- A short course on virology/vectorology/gene therapy Curr Gene Ther. (2003) Dec;3(6):495-9. PMID:14683447
- Virus chimeras for gene therapy, vaccination, and oncolysis: adenoviruses and beyond. Trends Mol Med. (2012) Jul;18(7):365-76. PMID:22633438
- Stem cells in human neurodegenerative disorders--time for clinical translation?. Lindvall, O., & Kokaia, Z. (2010). Journal of Clinical Investigation, 120(1), 29-40.
- Embryonic stem cell lines derived from human blastocysts. Thomson, J. A., Itskovitz-Eldor, J., Shapiro, S. S., et al. (1998). Science, 282(5391), 1145-1147.
- Dopamine neurons derived from human ES cells efficiently engraft in animal models of Parkinson's disease. Kriks, S., Shim, J. W., Piao, J., et al. (2011). Nature. 2011; 480: 547-551.
- Mesenchymal stem cell therapy: Two steps forward, one step back. Ankrum, J., Karp, JM. (2010). Trends Mol Med. 16(5):203-9

2. Métodos Docentes / [Teaching methodology](#)

- Clases teóricas: exposición oral por parte del profesor de los contenidos teóricos fundamentales de cada tema. En las sesiones se utilizará material audiovisual (presentaciones) disponible en la página de docencia en Moodle. Estos esquemas complementan las lecturas recomendadas en la guía docente.
- Clases prácticas: Presentaciones orales expuestas por los alumnos. Se estimulará el aspecto crítico y la emisión de juicios de valor sobre los trabajos presentados; tanto del propio como de los presentados por los compañeros.
- Tutorías individuales: siempre que el alumno las solicite.



Asignatura: Terapia génica y celular (BMM3)/ [Gene and cell therapy](#)
Código: 31049
Centro: Medicina
Titulación: Máster en Biomedicina Molecular / Master in Molecular Biomedicine
Nivel: Máster
Tipo: Optativa
Nº de Créditos: 6 ECTS
Curso académico: 2017-2018

- Estudio personal: aprendizaje autónomo académicamente dirigido por el profesor a través de las tareas publicadas en la página de docencia en red.
- The different teachers of the course will give general lectures: oral presentation of the theoretical fundamentals of each topic. The teachers will use power point slides available on the website of online Moodle. These slides will complement the recommended readings detailed in the bibliography.
- Also, each student will be given a paper to present orally and to criticize in front of his colleagues and teacher. Students will be encouraged to critically evaluate and appraise the work presented, both their own work and that of their peers.
- Individual tutorials as needed

3. Tiempo de trabajo del estudiante / [Student workload](#)

Horas totales estimadas de trabajo del estudiante: 150 h.

Horas de docencia teórica: 20.5 h.

Horas de seminarios de estudiantes: 20 h

Exámen: 3 horas

Horas de trabajo personal y preparación de las presentaciones orales impartidas por los alumnos: 105 h.

Total number of work hours (estimated): 150 h

Hours of lectures: 20.5 h

Oral presentations given by the students: 20h

Final exam: 3 hours

Hours of personal work and preparation of presentations given by students: 105 h



4. Métodos de evaluación y porcentaje en la calificación final / **Evaluation procedures and weight of components in the final grade**

- Examen final: 50%
 - Trabajo presentado por cada alumno: 40%
 - Participación activa con preguntas a otros. Se estimulará la discusión entre el alumno que presenta el trabajo y el resto de los alumnos, siempre moderada por el profesor. La participación y manera de desenvolverse en estas actividades representará el 10% de la nota final.
-
- **Final exam: 50%**
 - **Oral presentation by the student: 40%**
 - **Participation with questions to others. Discussions among the students will be stimulated and will represent 10% of the final score.**

El alumno que no haya realizado al menos un 30% de las actividades evaluables programadas será calificado como **no evaluado** y deberá realizar un examen escrito que representará el 100% de la calificación en la convocatoria extraordinaria.

Students who do not participate in at least 30% of these activities will be graded as “not-evaluated” and will need to pass a written examination in the supplementary period of evaluation.

5. Cronograma* / **Course calendar**

Semana	Contenido	Horas presenciales	Horas presenciales totales
1	Clases magistrales	5	20.5h
2		5	
3		5	
4		5.5	
5	Presentaciones orales de los estudiantes	5	20 horas
6		5	
7		5	
8		5	
1	Lectures	5	20.5h
2		5	



Asignatura: Terapia génica y celular (BMM3)/ **Gene and cell therapy**
Código: 31049
Centro: Medicina
Titulación: Máster en Biomedicina Molecular / Master in Molecular Biomedicine
Nivel: Máster
Tipo: Optativa
Nº de Créditos: 6 ECTS
Curso académico: 2017-2018

Semana	Contenido	Horas presenciales	Horas presenciales totales
3		5	
4		5.5	
5	Oral presentations given by the students	5	20 horas
6		5	
7		5	
8		5	

Examen final/ **Final exam**: 3 horas/**3 hours**

*Este cronograma tiene carácter orientativo.