Universidad de Navarra

Terapia Génica: Fundamentos y Aplicaciones en Biomedicina

Guía docente 2026-27

PRESENTACIÓN

Breve descripción:

En esta asignatura se explicarán los fundamentos de la terapia génica y sus principales aplicaciones clínicas. La terapia génica se basa en la trasferencia de material genético (ADN, ARN y ácidos nucleicos subgenómicos) a las células de un paciente para curar una enfermedad. Durante el curso se abordarán en detalle los fundamentos de la terapia génica, así como las herramientas necesarias para llevarla a cabo, con especial énfasis en los principales tipos de vectores empleados para transferir genes, así como en las herramientas moleculares que permiten corregir o modificar la información genética. Una parte importante de la asignatura estará dedicada a las aplicaciones clínicas de la terapia génica en un rango de enfermedades que van desde enfermedades monogénicas hereditarias, enfermedades infecciosas, enfermedades neurodegenerativas o cáncer, entre otras. En una última parte se abordarán también aspectos regulatorios y éticos de la terapia génica.

- **Titulación**: Máster en Investigación Biomédica
- **Módulo/Materia**: Especialidad en Medicina Regenerativa y Terapias Avanzadas
- **ECTS**: 3
- **Curso, semestre**: 2026-2027
- **Carácter**: Obligatoria en la especialidad de Medicina Regenerativa y Terapias Avanzadas y optativa para el resto de especialidades
- **Profesorado**: Cristian Smerdou Picazo, Antonio Fontanellas Romá, Rubén Hernández Alcoceba, Juan Roberto Rodríguez Madoz
- **Idioma**: español e inglés
- **Aula, Horario**: especificados en el calendario del máster

RESULTADOS DE APRENDIZAJE (Competencias)

- Poseer y comprender conocimientos que aporten una base u oportunidad de ser originales en el desarrollo y/o aplicación de ideas, a menudo en un contexto de investigación

- 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

- 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

- Abordar un reto biomédico en profundidad, desde distintos puntos de vista, identificando el estado de la ciencia actual

- Identificar una cuestión o hipótesis significativa sobre un tema o problema biomédico y plantear los pasos que habría que dar para resolver dicha cuestión

- Saber seleccionar y utilizar las técnicas adecuadas para desarrollar de manera eficaz y precisa un trabajo de investigación en biomedicina

- Poseer capacidad crítica, tanto en la lectura de la literatura científica biomédica, como en la interpretación de los resultados experimentales

- Comunicar de manera oral y con soltura, tanto en español como en inglés, un tema o datos de investigación biomédica teniendo en cuenta el auditorio al que va dirigida la presentación

- Tener una visión general sobre cuáles son los distintos tipos de medicamentos de terapias avanzadas basados en genes, células o tejidos y su diferente ori- Conocer las bases moleculares y celulares de las terapias avanzadas, así como las herramientas y técnicas utilizadas en este tipo de investiga

- Entender el objeto de la utilización de la terapia génica como medicamento y sus posibles mecanismos de acción

PROGRAMA

TERAPIA GÉNICA: FUNDAMENTOS Y APLICACIONES EN BIOMEDICINA. 2026-2027 (actualizado 31 agosto)

1 septiembre (martes) Aula 30

- 12:00-13:00. Clase 1. Introducción y principios básicos de la Terapia Génica: bases moleculares y estrategias generales. Dr. Cristian Smerdou.

- 13:00-14:00. Clase 2. Estrategias de "targeting" en Terapia Génica. Dr. Rubén Hernández Alcoceba.

4 septiembre (viernes) Aula 30

- 12:00-13:00. Clase 3. Estrategias de corrección génica y estabilidad de la expresión I. Dr. Juan R. Rodríguez Madoz

- 13:00-14:00. Clase 4. Estrategias de corrección génica y estabilidad de la expresión II. Dr. Juan R. Rodríguez Madoz

7 septiembre (lunes) Aula 1 Castaños

-15:00-16:00. Clase 5. Taller de diseño de estrategias de edición génica con CRISPR/Cas. Dr. Juan R. Rodríguez Madoz

- 16:00-17:00. Clase 6. Vectores virales basados en adenovirus. Dr. Rubén Hernández Alcoceba.

10 septiembre (jueves) Aula 30

- 12:00-13:00. Clase 7. Vectores de virus adeno-asociados (AAV). Dr. Cristian Smerdou.

- 13:00-14:00. Clase 8. Taller de construcción de vectores de AAV. Rubén Hernández Alcoceba

15 septiembre (martes) Aula 30

- 12:00-13:00. Clase 9. Vectores basados en virus de ARN. Dr. Cristian Smerdou.

- 13:00-14:00. Clase 10. Taller de construcción de vectores de RNA. Cristian Smerdou

21 septiembre (lunes) Aula 30

- 8:00-9:00. Clase 11. Vectores de retrovirus y lentivirus. Dr. Antonio Fontanellas.

- 9:00-10:00. Clase 12. Vectores no virales. Dr. Antonio Fontanellas

24 septiembre (jueves) Aula 1 Castaños

- 12:00-13:00. Clase 13. Pequeñas moléculas (oligonucleótidos antisentido, ribozimas, siRNAS, decoys). Dr. Antonio Fontanellas.

-13:00-14:00. Clase 14. Terapia génica de enfermedades genéticas I: inmunodeficiencias y talasemias. Dr. Antonio Fontanellas.

28 de septiembre (lunes) Aula 1 Castaños

- 17:00-18:00. Clase 15. Terapia génica de enfermedades genéticas II: enfermedades metabólicas, terapia génica in útero y neonatal. Dr. Antonio Fontanellas.

- 18:00-19:00. Clase 16. Terapia génica de enfermedades genéticas III: enfermedades metabólicas (continuación). Dr. Antonio Fontanellas.

29 septiembre (martes) Aula 30

- 12:00-13:00. Clase 17. Terapia génica de enfermedades genéticas IV: hemofilia y distrofias musculares. Dr. Juan R. Rodríguez Madoz.

- 13:00-14:00. Clase 18. Terapia génica de enfermedades genéticas V: enfermedades oculares. Dr. Juan R. Rodríguez Madoz.

5 octubre (lunes) Aula 1 Castaños

- 12:00-13:00. Clase 19. Terapia génica de enfermedades neurológicas. Dr. Rubén Hernández Alcoceba

- 13:00-14:00. Clase 20. Terapia génica del cáncer: inmunoterapia. Dr. Cristian Smerdou.

7 octubre (miércoles) Aula 1 Castaños

- 17:00-18:00. Clase 21. Terapia génica del cáncer: virus oncolíticos y modificación de la biología tumoral. Dr. Cristian Smerdou.

- 18:00-19:00. Clase 22. Terapia génica de enfermedades infecciosas y cardiovasculares. Dr. Juan R. Rodríguez Madoz.

9 octubre (viernes) Aula 30

- 10:00-11:00. Clase 23. Desarrollo y comercialización de vectores para aplicaciones clínicas I. Dr. Cristian Smerdou

-11:00-12:00. Clase 24. Desarrollo y comercialización de vectores para aplicaciones clínicas II / Aspectos éticos de la terapia génica. Dr. Cristian Smerdou

16 octubre (viernes) Aula 30

- 8:00-9:00. Ejercicio práctico en grupo: desarrollo de una estrategia de terapia génica para una enfermedad concreta. Profesores: Dr. Cristian Smerdou, Dr. Rubén Hernández Alcoceba, Dr. Antonio Fontanellas y Dr. Juan R. Rodríguez Madoz.

- 9:00-11:00. Exposición de la estrategia desarrollada por cada grupo. Profesores: Dr. Cristian Smerdou, Dr. Rubén Hernández Alcoceba, Dr. Antonio Fontanellas y Dr. Juan R. Rodríguez Madoz.

17 noviembre (martes) Aula 1 Castaños

- 15:00-18:00. Presentación de un artículo científico por cada alumno. Sesión 1 Profesores: Dr. Cristian Smerdou, Dr. Rubén Hernández Alcoceba, Dr. Antonio Fontanellas y Dr. Juan R. Rodríguez Madoz.

27 noviembre (viernes) Aula 1 Castaños

- 12:00-14:00. Presentación de un artículo científico por cada alumno. Sesión 2 Profesores: Dr. Cristian Smerdou, Dr. Rubén Hernández Alcoceba, Dr. Antonio Fontanellas y Dr. Juan R. Rodríguez Madoz.

EXAMEN: viernes 4 de DICIEMBRE (8h a 10h) Aula 1 Castaños

Examen, prueba escrita: será un examen mixto en el que habrá una parte de preguntas tipo test (75% de la nota del examen) y un tema corto a desarrollar (25% de la nota del examen).

ACTIVIDADES FORMATIVAS

Clases teóricas: 21h

Clases prácticas presenciales: 6h (3 talleres de una hora y 3 horas de prácticas)

Presentaciones de trabajos por los alumnos: 3h

TOTAL clases + talleres + prácticas + presentaciones = 30h

Trabajo autónomo del alumno/a: 43h

Evaluación: 2h

TOTAL actividades formativas: 75h

EVALUACIÓN

Examen, prueba escrita: Será un examen mixto en el que habrá una parte de preguntas tipo test (75% de la nota del examen) y un tema muy breve a desarrollar (25% de la nota del examen). La nota del examen será el 70% de la nota final.

Presentación de trabajos orales y/o escritos: Se evaluará la presentación de un artículo de investigación por parte de cada alumno. Esta nota será el 30% de la nota final.

CONVOCATORIA ORDINARIA

Resultado de la evaluación del exámen y la presentación bibliográfica de cada alumno

CONVOCATORIA EXTRAORDINARIA

La convocatoria extraordinaria se ofrecerá a aquellos alumnos que no hayan superado la nota mínima para aprobar (50% de la máxima nota final). Consistirá en la elaboración de un trabajo escrito sobre el tratamiento de una enfermedad mediante terapia génica.

HORARIOS DE ATENCIÓN

Concretar cita con el profesor elegido previamente vía e-mail:

- Dr. Cristian Smerdou (csmerdou@unav.es).

- Dr. Rubén Hernández (rubenh@unav.es)

- Dr. Antonio Fontanellas (afontanellas@unav.es)

- Dr. Juan R. Rodríguez Madoz (jrrodriguez@unav.es)

BIBLIOGRAFÍA Y RECURSOS

Ver bibliografía adjunta en recursos docentes