



## 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 transferencia 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



# Universidad de Navarra

- 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

#### 1 septiembre (martes)

- 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)

- 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

#### 10 septiembre (jueves)

-12:00-13:00. Clase 5. Taller de diseño de estrategias de edición génica con CRISPR/Cas. Dr. Juan R. Rodríguez Madoz

- 13:00-14:00. Clase 6. Vectores virales basados en adenovirus. Dr. Rubén Hernández Alcoceba.

#### 14 septiembre (lunes)

- 16:00-17:00. Clase 7. Vectores de virus adeno-asociados (AAV). Dr. Cristian Smerdou.

- 17:00-18:00. Clase 8. Taller de construcción de vectores de AAV. Rubén Hernández Alcoceba

#### 15 septiembre (martes)

- 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

#### 18 septiembre (viernes)

- 16:00-17:00. Clase 11. Vectores de retrovirus y lentivirus. Dr. Antonio Fontanellas.

- 17:00-18:00. Clase 12. Vectores no virales. Dr. Antonio Fontanellas

#### 21 septiembre (lunes)

- 8:00-9:00. Clase 13. Pequeñas moléculas (oligonucleótidos antisentido, ribozimas, siRNAs, decoys). Dr. Antonio Fontanellas.

- 9:00-10:00. Clase 14. Terapia génica de enfermedades genéticas I: inmunodeficiencias y talasemias. Dr. Antonio Fontanellas.

#### 24 septiembre (jueves)



# Universidad de Navarra

- 12:00-13:00. Clase 15. Terapia génica de enfermedades genéticas II: enfermedades metabólicas, terapia génica in útero y neonatal. Dr. Antonio Fontanellas.

- 13:00-14:00. Clase 16. Terapia génica de enfermedades genéticas III: enfermedades metabólicas (continuación). Dr. Antonio Fontanellas.

## **29 septiembre (martes)**

- 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.

## **1 octubre (jueves)**

- 17:00-18:00. Clase 19. Terapia génica del cáncer: inmunoterapia. Dr. Cristian Smerdou.

- 18:00-19:00. Clase 20. Terapia génica del cáncer: virus oncolíticos y modificación de la biología tumoral. Dr. Cristian Smerdou.

## **5 octubre (lunes)**

- 12:00-13:00. Clase 21. Terapia génica de enfermedades neurológicas. Dr. Rubén Hernández Alcoceba

- 13:00-14:00. Clase 22. Terapia génica de enfermedades infecciosas y cardiovasculares. Dr. Juan R. Rodríguez Madoz.

## **9 octubre (viernes)**

- 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)**

- 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)**

- 15:00-18:00. Presentación de un artículo científico por cada alumno. 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)**

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).



Universidad  
de Navarra

## 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 examen 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