

	English version at the end of this document					
Ano Letivo	2018-19					
Unidade Curricular	SISTEMAS AVANÇADOS PARA TERAPIA GÉNICA E CELULAR					
Cursos	CIÊNCIAS BIOMÉDICAS - MECANISMOS DE DOENÇAS (2.º ciclo) Tronco comum					
Unidade Orgânica	Reitoria - Centro de Novos Projectos					
Código da Unidade Curricular	14341036					
Área Científica	CIÊNCIAS BIOMÉDICAS					
Sigla						
Línguas de Aprendizagem	Português.					
Modalidade de ensino	Diurno, presencial.					
Docente Responsável	Clévio David Rodrigues Nóbrega					



DOCENTE	TIPO DE AULA	TURMAS	TOTAL HORAS DE CONTACTO (*)
Clévio David Rodrigues Nóbrega	S; T; TP	T1; TP1; S1	5T; 15TP; 1S
Docente A Contratar DCBM 2	S; T	T1; ;S1	20T; 4S

^{*} Para turmas lecionadas conjuntamente, apenas é contabilizada a carga horária de uma delas.

ANO	PERÍODO DE FUNCIONAMENTO*	HORAS DE CONTACTO	HORAS TOTAIS DE TRABALHO	ECTS
1º	S2	25T; 15TP; 6S	168	6

^{*} A-Anual; S-Semestral; Q-Quadrimestral; T-Trimestral

Precedências

Sem precedências

Conhecimentos Prévios recomendados

Noções de biologia celular e genética molecular.

Objetivos de aprendizagem (conhecimentos, aptidões e competências)

Obter uma visão avançada da terapia genética e celular, proporcionando o conhecimento mais recente dos conceitos, estratégias, metodologias e potenciais benefícios e perigos de terapias genéticas e celulares.

Proporcionar uma sólida compreensão da lógica subjacente a várias abordagens de terapia genética.

Proporcionar uma base sólida de conhecimento sobre as diferentes formas de entrega de genes, incluindo as técnicas de edição de genes.

Oferecer aos alunos uma visão acerca do estado atual da terapia génica para diferentes doenças que afetam o ser humano.



Conteúdos programáticos

- 1. Conceitos gerais acerca da terapia génica e celular
 - 1.1 História da terapia génica
 - 1.2 Situação atual da terapia génica
 - 1.3 Tipos de terapia génica
 - 1.4 Aplicação da terapia génica
 - 1.5 Terapia celular
- 2. Sistemas avançados de entrega de genes
 - 2.1 Vectores virais versus vectores não virais
 - 2.2 Sistemas de administração sistémica
- 3. Sistemas de edição de genes
 - 3.1 Evolução dos sistemas de edição de genes
 - 3.2 Uma visão detalhada ao sistema CRISPR/Cas9
- 4. A aplicação da terapia génica e celular
 - 4.1 Doenças neurodegenerativas
 - 4.2 Doenças oculares
 - 4.3 Cancro
 - 4.4 Doenças cardiovasculares

Metodologias de ensino (avaliação incluída)

As aulas teóricas consistem em palestras ministradas em uma sala de aula equipada com projetor de slides. As aulas teórico-práticas envolvem a análise e discussão de artigos científicos e / ou os resultados de experiências e estudos. Os seminários envolvem a apresentação e discussão de estudos de terapia génica e celular a decorrer. A avaliação será efetuada através de um exame de escolha múltipla no final do módulo, cobrindo todos os conteúdos abordados na disciplina. A admissão a exame está dependente da frequência a 80% de todas as aulas/seminários.

Bibliografia principal

A bibliografia consiste sobretudo em artigos científicos que serão disponibilizados aos estudantes. Para conceitos básicos acerca do tema, o seguinte livro pode ser consultado:

Gene Therapy - Tools and Potential Applications. Edited by Francisco Martin Molina



Academic Year	2018-19						
Course unit	SISTEMAS AVANÇADOS PARA TERAPIA GÉNICA E CELULAR						
Courses	BIOMEDICAL SCIENCES Tronco comum						
Faculty / School	Reitoria - Centro de Novos Projec	ctos					
Main Scientific Area	CIÊNCIAS BIOMÉDICAS						
Acronym							
Language of instruction	Portuguese.						
Teaching/Learning modality	Day, presential.						
Coordinating teacher	Clévio David Rodrigues Nóbrega						
Teaching staff		Туре	Classes	Hours (*)			
Clévio David Rodrigues Nóbre	S; T; TP	T1; TP1; S1	5T; 15TP; 1S				

Docente A Contratar DCBM 2

* For classes taught jointly, it is only accounted the workload of one.

20T; 4S

S; T

T1; ;S1



Contact hours

Т	TP	PL	TC	S	E	ОТ	0	Total
25	15	0	0	6	0	0	0	168

T - Theoretical; TP - Theoretical and practical; PL - Practical and laboratorial; TC - Field Work; S - Seminar; E - Training; OT - Tutorial; O - Other

Pre-requisites

no pre-requisites

Prior knowledge and skills

Basic knowledge about cellular biology and molecular genetics.

The students intended learning outcomes (knowledge, skills and competences)

To provide an advanced view of gene and cell therapy, providing the latest insight into the concepts, strategies, methodologies, and potential benefits and dangers of genetic and cellular therapies.

To provide a sound understanding of the rationale underlying various approaches to gene therapy.

To provide a solid foundation of knowledge about the different forms of gene delivery, including gene-editing techniques.

To give students insight into the current state of gene therapy for different diseases that affect the human being.



Syllabus

- 1. General concepts on gene and cell therapy
 - 1.1 Gene therapy history
 - 1.2 Current status of gene therapy
 - 1.3 Types of gene therapy
 - 1.4 Gene therapy application
 - 1.5 Cell therapy
- 2. Advanced systems for gene delivery
 - 2.1 Viral vectors versus non-viral vectors
 - 2.2 Systems for systemic administration
- 3. Gene edition systems
 - 3.1 Evolution of the systems for gene and cell therapy
 - 3.2 A detailed view of the CRISPR/Cas9 system
- 4. Gene and cell therapy applications
 - 4.1 Neurodegenerative diseases
 - 4.2 Ocular diseases
 - 4.3 Cancer
 - 4.4 Cardiovascular diseases

Teaching methodologies (including evaluation)

Theoretical classes consist of lectures given in a classroom equipped with a slide projector. The theoretical-practical classes involve the analysis and discussion of scientific articles and/or the results of experiments and studies. The seminars involve the presentation and discussion of ongoing gene and cell therapy studies. The evaluation will be done through a multiple-choice exam at the end of the module, covering all the contents covered in the course. Admission to examination is dependent on attendance at 80% of all classes/seminars.

Main Bibliography

The bibliography consists mainly of scientific articles that will be provided to students. For basic concepts about the subject, the following book can be consulted:

Gene Therapy - Tools and Potential Applications. *Edited by <u>Francisco Martin Molina</u>*, *ISBN 978-953-51-1014-9*, *754 pages*, *Publisher: InTech? DOI: 10.5772/50194*