

Ano Letivo 2019-20

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/Inglês

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; 4S
Carlos Adriano Albuquerque Andrade de Matos	S; T	T1; ;S1	10T; 2S
Rui Jorge Gonçalves Pereira Nobre	S; T	T1; ;S1	10T; 2S

* 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

Demonstração da coerência dos conteúdos programáticos com os objetivos de aprendizagem da unidade curricular

Os conteúdos curriculares são projetados para cobrir os principais temas necessários para um curso de mestrado em terapia génica e celular. Uma apresentação teórica dos principais aspetos da terapia génica e celular, incluindo a sua história, situação atual, aplicações, entre outros será dada como base para a compreensão de conceitos mais avançados. Neste ponto, serão focados os sistemas de entrega de genes, com principal foco para os recentes avanços em termos de administração sistémica e de biomateriais/moléculas. De igual forma serão focados os sistemas de edição génica e seus avanços mais recentes, com particular detalhe para o sistema CRISPR/Cas9. Finalmente, serão fornecidos diversos exemplos de aplicação da terapia génica e celular no contexto humano, englobando entre outros, estudos em doenças neurodegenerativas e oculares.

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.

Demonstração da coerência das metodologias de ensino com os objetivos de aprendizagem da unidade curricular

A nossa metodologia de ensino segue uma prática padrão para cursos universitários ao nível de mestrado. Uma base sólida é estabelecida através de uma série de palestras curtas apoiadas por suporte visual. A participação dos alunos durante as aulas será fortemente encorajada. As sessões teórico-práticas concentram-se em aspetos metodológicos e análise de estudos. Sessões de seminários envolvem a apresentação de estudos a decorrer e a discussão dos resultados científicos, integrando os conhecimentos adquiridos nas aulas teóricas e aulas teórico-práticas.

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 2019-20

Course unit ADVANCED SYSTEMS FOR GENE AND CELL THERAPIES

Courses BIOMEDICAL SCIENCES
Tronco comum

Faculty / School DEPARTMENT OF BIOMEDICAL SCIENCES AND MEDICINE

Main Scientific Area CIÊNCIAS BIOMÉDICAS

Acronym

Language of instruction Portuguese/English.

Teaching/Learning modality Day, presential.

Coordinating teacher Clévio David Rodrigues Nóbrega

Teaching staff	Type	Classes	Hours (*)
Clévio David Rodrigues Nóbrega	S; T; TP	T1; TP1; S1	5T; 15TP; 4S
Carlos Adriano Albuquerque Andrade de Matos	S; T	T1; ;S1	10T; 2S
Rui Jorge Gonçalves Pereira Nobre	S; T	T1; ;S1	10T; 2S

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

Contact hours

T	TP	PL	TC	S	E	OT	O	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
-

Demonstration of the syllabus coherence with the curricular unit's learning objectives

The curriculum content is designed to cover the main subjects required for a master's degree in gene and cell therapy. A theoretical presentation of the main aspects of gene and cell therapy, including its history, current situation, applications, among others will be given as a basis for understanding more advanced concepts. At this point, gene delivery systems will be focused, with a focus on recent advances in systemic administration and biomaterials/molecules. Genetic editing systems and their latest advances will also be focused, with particular attention to the CRISPR / Cas9 system. Finally, several examples of the application of gene and cell therapy in human context will be provided, encompassing, among other studies, neurodegenerative and ocular 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.

Demonstration of the coherence between the teaching methodologies and the learning outcomes

Our teaching methodology follows standard practice for university courses at the master's level. A firm foundation is established through a series of short-lectures supported by visual slides. Participation by the students during the lectures is strongly encouraged. Theoretical-practical sessions focus on methodological aspects and studies analysis. Seminar sessions involve the presentation of ongoing studies and discussion of scientific results, integrating knowledge gained in theoretical classes and theoretical-practical classes.

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 [Francisco Martin Molina](#) , ISBN 978-953-51-1014-9, 754 pages, Publisher: InTech? DOI: 10.5772/50194