



PERSONA CIENCIA EMPRESA  
Universitat Ramon Llull

## ASIGNATURA: ANIMALES TRANSGÉNICOS Y TERAPIA GÉNICA

**MATERIA:** Biotecnología para la salud

**MÓDULO:** Optativas

**ESTUDIOS:** Grado en Biotecnología

Página 1 de 6

### CARACTERÍSTICAS GENERALES \*

**Tipo:**  Formación básica,  Obligatoria,  Optativa  
 Trabajo de fin de grado,  Prácticas externas

**Duración:** Cuatrimestral

**Semestre / s:** 8

**Número de créditos ECTS:** 5

**Idioma / s:** Inglés

### DESCRIPCIÓN

**BREVE DESCRIPCIÓN Y JUSTIFICACIÓN** (del sentido de la asignatura en relación a los estudios. Entre 100 y 200 palabras.)

La generación de animales transgénicos permite, entre otras cosas, generar modelos de enfermedades aptos para el testeo de fármacos así como producir moléculas recombinantes de interés. Por otro lado, la terapia génica permite manipular los genes con una finalidad terapéutica y para determinadas enfermedades, puede ser la única alternativa de curación. Así pues, el conocimiento de las amplias posibilidades que ofrecen tanto los animales transgénicos como la terapia génica son de gran interés para la rama biomédica de la biotecnología.

Los objetivos de la asignatura animales transgénicos y terapia génica se centraran en proporcionar al alumno conocimientos de los distintos tipos de animales transgénicos y de estrategias de terapia génica disponibles actualmente, así como la tecnología asociada a su generación. Además de presentar las distintas estrategias, se discutirán algunas aplicaciones concretas.

**COMPETENCIAS** (de la asignatura puestas en relación con las competencias preasignadas en la materia.)

- Que los estudiantes hayan desarrollado aquellas habilidades de aprendizaje necesarias para emprender estudios posteriores con un alto grado de autonomía **(B5)**
- Ser capaz de valorar el impacto de su actividad profesional en el desarrollo sostenible de la sociedad **(T3)**
- Ser capaz de incorporar aspectos contemporáneos relacionados con el ejercicio de su profesión **(T5)**
- Ser capaz de comprender y aplicar conocimientos avanzados de Biociencias e Ingeniería en la realización de actividades en el ámbito de la Bioingeniería **(E3)**
- Ser capaz de integrar los conocimientos y herramientas de la bioingeniería para aplicarlos a los distintos sectores industriales que utilizan, desarrollan o producen productos o procesos biotecnológicos **(E6)**

\* Estas características no deben ser modificadas sin la aprobación de los órganos responsables de las estructuras académicas de nivel superior (materia, módulo y / o plan de estudios).



PERSONA CIENCIA EMPRESA  
Universitat Ramon Llull

## ASIGNATURA: ANIMALES TRANSGÉNICOS Y TERAPIA GÉNICA

**MATERIA:** Biotecnología para la salud  
**MÓDULO:** Optativas  
**ESTUDIOS:** Grado en Biotecnología

Página 2 de 6

**REQUISITOS PREVIOS \*** (módulos, materias, asignaturas o conocimientos necesarios para el seguimiento de la asignatura. Se pueden hacer constar asignaturas que se deben haber cursado.)

Los alumnos deben haber adquirido los conocimientos del módulo fundamental del Grado en Biotecnología relacionados con las asignaturas Biología Celular y Genética y Biología Animal y Vegetal. Además, los alumnos deben haber cursado las asignaturas de segundo curso del Grado en Biotecnología: Biología Molecular, Tecnología de ADN recombinante, Estructura y Función de Biomoléculas, Metabolismo y regulación. Finalmente, es conveniente que los alumnos hayan cursado las asignaturas optativas Fisiología y patología molecular e Ingeniería de tejidos del semestre 7 del Grado de Biotecnología.

**CONTENIDOS** (como relación de los apartados que constituyen el temario de la misma),

### PART I. TRANSGENIC ANIMALS.

1. Introduction to animal gene manipulation- The mouse as a model for biomedical applications
2. Additive transgenesis: generation of transgenic mouse and design of chimeric/transgenic genes.
3. Approaches for the production of transgenic animals
4. Generation of transgenic farm animals
5. Other transgenic laboratory animals
6. Transgenesis by substitution: Knockout and Knockin animals. Generation of conditional knockouts/ins using recombinases
7. New technologies: transposons and genome editing
8. Other applications of transgenesis: gene trap, conditional overexpression mediated by Cre/LoxP.
9. Applications of transgenic animals in medicine, agriculture and industry. Biopharming
10. Resources: international mouse mutagenesis and phenotyping consortia, mouse repositories...

### PART II. GENE THERAPY.

1. Introduction to gene therapy. *In vivo* and *ex vivo* gene therapy.
2. Therapies and their corresponding therapeutic nucleic acid: correction supplementation and silencing.
3. Gene transfer strategies. Viral and non-viral vectors.
4. RNAi-based therapy
5. Genome editing in gene therapy
6. Gene therapy applications. Monogenic disorders, cancer and other diseases.

\* Estas características no deben ser modificadas sin la aprobación de los órganos responsables de las estructuras académicas de nivel superior (materia, módulo y / o plan de estudios).



PERSONA CIENCIA EMPRESA  
Universitat Ramon Llull

## ASIGNATURA: ANIMALES TRANSGÉNICOS Y TERAPIA GÉNICA

**MATERIA:** Biotecnología para la salud

**MÓDULO:** Optativas

**ESTUDIOS:** Grado en Biotecnología

Página 3 de 6

### METODOLOGÍA

**ACTIVIDADES FORMATIVAS** \* (Completar la tabla relacionando actividades, carga de trabajo, en créditos ECTS, y competencias.)

Actividades formativas	Créditos ECTS	Competencias
Sesiones de exposición de conceptos	1,3	T3, T5, E3, E6
Sesiones de resolución de ejercicios, problemas y casos	0,1	B5, T3, T5, E3, E6
Seminarios	0,1	B5, T3, T5, E3, E6
Trabajo práctico / laboratorio	-	
Presentaciones	0,1	B5, T5
Actividades de estudio personal por parte de los estudiantes	3,3	B5, T3, T5, E3, E6
Actividades de evaluación (exámenes, controles de seguimiento ...)	0,1	B5, T3, T5, E3, E6
<b>TOTAL</b>	<b>5,0</b>	<b>B5, T3, T5, E3, E6</b>

**EXPLICACIÓN DE LA METODOLOGÍA DIDÁCTICA** (justificando los métodos didácticos usados en relación a las competencias y los contenidos de la asignatura. Entre 100 y 200 palabras.)

La asignatura, impartida de forma presencial, constará mayoritariamente de sesiones de exposición de conceptos por parte del profesor, tipo lecciones magistrales. Estas sesiones se combinarán con sesiones de discusión de casos, ejercicios y ejemplos concretos extraídos de revistas especializadas. Además, se realizarán sesiones de tipo seminario para resolver dudas. A continuación, se describe la metodología utilizada en detalle:

- Sesiones de exposición de conceptos: Exposición de contenidos mediante presentación o explicación (posiblemente incluyendo demostraciones) por parte de un profesor, utilizando presentaciones powerpoint como soporte didáctico.
- Sesiones de resolución/discusión de casos, ejercicios y ejemplos concretos: Resolución de ejercicios, planteamiento/resolución de problemas y exposición/discusión de casos (como por ejemplo artículos científicos publicados) por parte del profesor con la participación activa de los alumnos. Los casos/ejercicios podrán ser tanto planteados y resueltos colectivamente en clase, como ejercicios proporcionados como actividades de evaluación y resueltos previamente por el alumno.
- Seminarios: Periodo de instrucción realizado por un profesor con el objetivo de revisar, discutir y resolver dudas sobre los materiales y temas presentados en las sesiones de exposición de conceptos y sesiones de resolución de ejercicios, casos y ejemplos.

\* Estas características no deben ser modificadas sin la aprobación de los órganos responsables de las estructuras académicas de nivel superior (materia, módulo y / o plan de estudios).



## ASIGNATURA: ANIMALES TRANSGÉNICOS Y TERAPIA GÉNICA

**MATERIA:** Biotecnología para la salud

**MÓDULO:** Optativas

**ESTUDIOS:** Grado en Biotecnología

Página 4 de 6

- Trabajo personal del estudiante necesario para adquirir las competencias de cada Materia y asimilar los conocimientos expuestos en las sesiones de exposición de conceptos y sesiones de resolución de ejercicios, problemas y casos, utilizando, cuando sea necesario, el material recomendado de consulta. Incluyen también la preparación de tareas relacionadas con las otras actividades, y la preparación de exámenes.
- Prueba oral y / o escrita realizada una vez finalizado el periodo lectivo (examen final)

### EVALUACIÓN

MÉTODOS DE EVALUACIÓN \* (Completar la tabla relacionando métodos de evaluación, competencias y peso en la calificación de la asignatura.)

Métodos de evaluación	Peso	Competencias
Examen final	35%	B5, T3, T5, E3, E6
Examen / es parcial / es	-	
Actividades de seguimiento	30%	T5, E3, E6
Trabajos y presentaciones	30%	T5, E3, E6
Trabajo experimental o de campo	-	
Proyectos	-	
Valoración de la empresa o institución	-	
Participación	5%	T5, E3, E6

**RESULTADOS DE APRENDIZAJE** (Explicación de las realizaciones del alumno que permiten la evaluación de competencias, relacionándolos con las competencias y los métodos de evaluación.)

- El estudiante debe demostrar un grado de aprendizaje y autonomía que le permita emprender estudios y actividades profesionales posteriores (B5).
  - El estudiante debe comprender la importancia y utilidad de los animales transgénicos y de la terapia génica en la biotecnología para la salud actual y futura, para así ser capaz de valorar el impacto de su actividad profesional en el desarrollo sostenible de la sociedad (T3).
  - El estudiante debe demostrar su habilidad de diseñar estrategias para generar animales transgénicos para el aplicaciones específicas. Del mismo modo, el estudiante debe ser capaz de identificar y diseñar la estrategia de terapia génica más adecuada para el tratamiento de enfermedades concretas. El alumno debe ser capaz de comprender las herramientas disponibles actualmente para poder incorporar estos aspectos en el ejercicio de su profesión (T5).
  - El estudiante debe conocer las herramientas disponibles para generar animales transgénicos y diseñar estrategias de terapia génica. Debe comprender las ventajas y limitaciones de cada uno de los sistemas y métodos trabajados para así ser capaz de
- \* Estas características no deben ser modificadas sin la aprobación de los órganos responsables de las estructuras académicas de nivel superior (materia, módulo y / o plan de estudios).



## ASIGNATURA: ANIMALES TRANSGÉNICOS Y TERAPIA GÉNICA

**MATERIA:** Biotecnología para la salud  
**MÓDULO:** Optativas  
**ESTUDIOS:** Grado en Biotecnología

Página 5 de 6

aplicar estos conocimientos avanzados de Biociencias e Ingeniería en la realización de actividades en el ámbito de la biotecnología (E3).

- El estudiante debe ser capaz de integrar los conocimientos adquiridos de la asignatura en el marco de la biotecnología, para poder así aplicarlos a los distintos sectores industriales que utilizan, desarrollan o producen productos de aplicación en la biotecnología para la salud (E6).

### **CALIFICACIÓN** (Explicación del sistema de cómputo de la calificación de la asignatura.)

La evaluación de la asignatura (calificación final, CF) tendrá en consideración las calificaciones obtenidas en el examen final (EF), las actividades de seguimiento (AS), los trabajos y presentaciones (TP), y la participación (P). Cada una de estas notas será sobre 10 y tendrá un valor máximo de 10.

La calificación de las actividades de seguimiento (AS) y de los trabajos y presentaciones (TP) se calculará como promedio ponderado de las distintas actividades realizadas. La calificación de la participación (P, 5% de la nota final) la adjudica el profesor al finalizar la asignatura teniendo en cuenta el nivel de participación que ha tenido el alumno en el global de las actividades de la asignatura.

El examen final (EF, 35% de la nota final) tiene como objetivo valorar la síntesis de la asignatura.

Para poder aprobar la asignatura, la nota del examen final (EF) deberá ser igual o superior a 4,5. En caso de que la nota del EF sea inferior a 4,5, esta nota será la calificación final (CF) de la asignatura.

Si la nota del EF es igual o superior a 4,5, entonces la calificación final (CF) de la asignatura se calcula como la media ponderada de las calificaciones obtenidas en el examen final (EF, 35%), las actividades de seguimiento (AS, 30%), los trabajos y presentaciones (TP, 30%), y la participación (P, 5%), siguiendo la siguiente fórmula:

$$CF = 0,35 EF + 0,30 AS + 0,30 TP + 0,05 P$$

Sólo si esta nota final (CF) es igual o superior a 5 la asignatura estará aprobada.

### **EVALUACIÓN DE LAS COMPETENCIAS** (Definir expresiones de cálculo para cada competencia en función de las actividades de evaluación correspondientes.)

Para la evaluación de las competencias B5 y T3, se usará como indicador la nota del examen final (EF).

Para la evaluación de las competencias T5, E3 y E6, se usará como indicador las notas del EF, de las actividades de seguimiento (AS), de los trabajos y presentaciones (TP), y de la participación (P).

\* Estas características no deben ser modificadas sin la aprobación de los órganos responsables de las estructuras académicas de nivel superior (materia, módulo y / o plan de estudios).



PERSONA CIENCIA EMPRESA  
Universitat Ramon Llull

## ASIGNATURA: ANIMALES TRANSGÉNICOS Y TERAPIA GÉNICA

**MATERIA:** Biotecnología para la salud  
**MÓDULO:** Optativas  
**ESTUDIOS:** Grado en Biotecnología

Página 6 de 6

### BIBLIOGRAFÍA (Recomendada y accesible al alumno.)

1. **Principles of Gene Manipulation and Genomics** (7th Edition). Sandy B. Primrose, Richard Twyman. 2006. Wiley-Blackwell, UK.
2. **Molecular Biotechnology: Principles and Applications of Recombinant DNA** (4th Edition). Bernard Glick, Jack J. Pasternak, Cheryl L. Patten. 2009. American Society for Microbiology, USA.
3. **Transgenic Animal Technology. A laboratory handbook** (3rd Edition). Edited by Carl. A. Pinkert. 2014. Elsevier Inc.
4. **Gene and Cell Therapy. Therapeutic Mechanisms and Strategies** (5th Edition). Edited by Nancy Smyth Templeton. 2015. CRC Press.
5. **Gene Therapy**. Mauro Giacca. 2010. Springer-Verlag.
6. Artículos de revistas especializadas.

### HISTÓRICO DEL DOCUMENTO

**MODIFICACIONES ANTERIORES** (Indicar fecha y autor / es, las más recientes primero)

01 de Abril de 2016, Dra. Sara Cervantes

**ÚLTIMA REVISIÓN** (Indicar fecha y autor / es.)

06 de Septiembre de 2017, Dra. Sara Cervantes

\* Estas características no deben ser modificadas sin la aprobación de los órganos responsables de las estructuras académicas de nivel superior (materia, módulo y / o plan de estudios).