

DATOS DE IDENTIFICACIÓN

Titulación:	Master Universitario en Terapias Avanzadas en Biomedicina		
Ámbito	Biología y genética		
Facultad/Escuela:	Escuela de Postgrado y Formación Permanente		
Asignatura:	Desarrollo de Medicamentos de Terapia Avanzada (ATMPs)		
Tipo:	Obligatoria	Créditos ECTS:	2,50
Curso:	1	Código:	8867
Periodo docente:	Primer-Segundo semestre		
Materia:	Investigación Traslacional		
Módulo:			
Tipo de enseñanza:	Presencial		
Idioma:	Castellano		
Total de horas de dedicación del alumno:	62,50		

Equipo Docente	Correo Electrónico
Maite Iglesias Badiola	m.iglesias@ufv.es

DESCRIPCIÓN DE LA ASIGNATURA

El desarrollo de medicamentos de terapia Avanzada, desde la fase de descubrimiento en laboratorio hasta su aplicación en clínica, requiere un proceso secuencial, riguroso y científicamente sólido que demuestre en distintas fases la eficacia, la seguridad y la calidad de un producto. En esta asignatura se estudiará cómo diseñar un plan de desarrollo de un ATMP que incluya todas las etapas de actuación: Fase de descubrimiento, Fase preclínica, Fase clínica, Fase de aprobación y registro y Fase de desarrollo farmacéutico, hasta llegar a la clínica. El primer paso en el proceso de descubrimiento de nuevos fármacos consiste en identificar una necesidad médica

no cubierta. Una vez identificada los científicos estudian muy detenidamente la bioquímica de la patología objeto y su repercusión en los procesos fisiopatológicos asociados.

El desarrollo de un medicamento conlleva la identificación de posibles dianas terapéuticas que jueguen un papel esencial en la enfermedad y sobre las que intervenir. Las dianas terapéuticas pueden abarcar factores secretados, receptores de la superficie celular o vías de señalización intracelular.

Tras la identificación de un objetivo y validación de un candidato a medicamento, aún queda un largo proceso para que el desarrollo de un fármaco esté completo. Dicho desarrollo engloba estudios de seguridad, eficacia, formulación y fabricación. Normalmente, los estudios de seguridad comienzan con diversos experimentos denominados estudios preclínicos que se llevan a cabo en un contexto científicamente controlado con utilización de cultivos celulares y animales como modelos. Cuando estos estudios prevén que el candidato a medicamento es seguro, se inicia su evaluación en seres humanos en una serie de estudios conocidos como ensayos clínicos. Los ensayos clínicos son pruebas diseñadas para determinar la seguridad, la posología adecuada, la eficacia, las reacciones adversas y los efectos del uso a largo plazo de un medicamento nuevo en seres humanos. Los ensayos clínicos que se llevan a cabo en seres humanos se realizan siguiendo normas armonizadas internacionales que protegen los derechos y garantiza la seguridad de los sujetos humanos evaluados y siguen el código ético para la investigación en seres humanos.

OBJETIVO

El principal objetivo es que el alumno comprenda los pasos a seguir para diseñar un medicamento de terapia avanzada desde la investigación básica hasta su llegada a la clínica. Los fines específicos de la asignatura son que los alumnos: se formen en el proceso de desarrollo de un nuevo fármaco de terapia avanzada, adquieran los conocimientos y herramientas necesarias para analizar y diseñar una prueba de concepto, conozcan, comprendan y dominen las fases de exploración y confirmación en el desarrollo de un fármaco atendiendo a la autorización reglamentaria y a la ética, conozcan las diferentes fases de desarrollo de un fármaco y su aplicación respetando los derechos fundamentales de las personas, se formen en el proceso de evaluación de un proyecto/propuesta de desarrollo de un medicamento, adquieran los conocimientos sobre los aspectos a tener en cuenta para preparar y plantear con éxito un plan de negocio de desarrollo de un medicamento de terapia avanzada

CONOCIMIENTOS PREVIOS

Conocimientos de Ingeniería genética, fisiopatología, biología celular, terapia génica y celular.

CONTENIDOS

- Investigación Traslacional
- Epidemiología Clínica y selección del paciente objetivo: identificación del objetivo terapéutico
- Etapas de un plan de investigación traslacional para el desarrollo de un ATMP
- Definición y tipos de pruebas de concepto
- Investigación preclínica: Pruebas in vitro: eficacia, seguridad, biodistribución, toxicidad, carcinogénesis, teratogénesis
- Investigación clínica: Fases de la investigación clínica, diseño de ensayos clínicos confirmatorios de eficacia y seguridad
- Gestión de la seguridad

- Etapas de un plan de investigación traslacional para el desarrollo de un ATMP
- Producción de un ATMP: Plan de negocio y búsqueda de financiación
- Evaluación de oportunidades y transferencia de tecnología: Protección intelectual y patentes; Oficinas de Transferencia de Resultados de Investigación (OTRIs), para inventores y para la industria; Acuerdos de licencia

ACTIVIDADES FORMATIVAS

Metodología expositiva y participativa para los aspectos teóricos, las actividades, proyectos o trabajos realizados y trabajo científico metódico de toda la parte práctica de cada una de los temas.

Metodología del caso para el tema: Producción de un ATMP: Plan de negocio y búsqueda de financiación

Taller para el tema: Evaluación de oportunidades y transferencia de tecnología: Protección intelectual y patentes; Oficinas de Transferencia de Resultados de Investigación (OTRIs), para inventores y para la industria; Acuerdos de licencia

Mediante las tutorías el profesor, a requerimiento del alumno/s y en el horario establecido para ello, resolverá dudas o discutirá las cuestiones que le plantee el alumno/s, con el fin de orientarle/s en el aprendizaje de la asignatura

El Campus virtual estará a disposición del alumno y profesor.

En el Campus virtual el alumno dispondrá de lecturas y actividades que contribuyan a la preparación y seguimiento de la materia

DISTRIBUCIÓN DE LOS TIEMPOS DE TRABAJO

ACTIVIDADES FORMATIVAS DIRIGIDAS POR EL PROFESOR	TRABAJO AUTÓNOMO
20,50 Horas	42 Horas

COMPETENCIAS

Competencias básicas

Poseer las habilidades de aprendizaje que permitan continuar estudiando de un modo que habrá de ser en gran medida autodirigido o autónomo.

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.

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 estudios.

Integrar conocimientos y enfrentarse a la complejidad de formular juicios a partir de una información que, siendo incompleta o limitada, incluya reflexiones sobre las responsabilidades sociales y éticas vinculadas a la aplicación de sus conocimientos y juicios.

Saber comunicar conclusiones -y los conocimientos y razones últimas que las sustentan- a públicos especializados y no especializados de un modo claro y sin ambigüedades.

Saber buscar, organizar, planificar y gestionar adecuadamente la información necesaria para el desarrollo y la justificación de proyectos de innovación biomédica.

Ser capaz de aplicar los conocimientos teóricos adquiridos a la práctica y la innovación biotecnológica.

Desarrollar hábitos de pensamiento riguroso y capacidad para la resolución de problemas y la toma de decisiones tanto en el ámbito profesional como en el personal.

Competencias generales

Saber buscar, organizar, planificar y gestionar adecuadamente la información necesaria para el desarrollo y la justificación de proyectos de innovación biomédica.

Ser capaz de aplicar los conocimientos teóricos adquiridos a la práctica y la innovación biotecnológica.

Desarrollar hábitos de pensamiento riguroso y capacidad para la resolución de problemas y la toma de decisiones tanto en el ámbito profesional como en el personal.

Competencias específicas

Explicar los fundamentos y conceptos básicos de la investigación traslacional (del laboratorio a la clínica).

Definir el significado de medicamento de terapia avanzada y las diferentes etapas para su desarrollo: epidemiología, objetivo terapéutico, perfil del producto.

Identificar los objetivos terapéuticos a los que dirigirá un plan innovador de desarrollo de un ATMP.

RESULTADOS DE APRENDIZAJE

Identifica el objetivo terapéutico al que se dirigirá el ATMP

Interpreta correctamente la pruebas de concepto necesarias para proponer un ATMP

Aplica correctamente las etapas de la investigación preclínica y clínica.

Relaciona contenidos de otras asignaturas como fisiopatología, tecnologías avanzadas, cultivos celulares... para el estudio y desarrollo de un nuevo ATMP

Argumenta sobre la idoneidad de la propuesta de un nuevo ATMP

Desarrolla un plan de negocio para la producción de un ATMP

Plantea correctamente el fundamento de la investigación traslacional y su aplicación en el desarrollo de medicamentos avanzados (ATMPs)

SISTEMA DE EVALUACIÓN DEL APRENDIZAJE

CONVOCATORIA ORDINARIA: Participación activa en las clases y desarrollo del trabajo, 10%

Elaboración de un trabajo siguiendo las indicaciones del profesor en el Taller, 50%

Examen de contenido teórico, prueba con preguntas de opción múltiple. 40%.

Será necesario aprobar ambas pruebas por separado para superar la asignatura.

CONVOCATORIA EXTRAORDINARIA: En caso de que en la convocatoria ordinaria el alumno haya incumplido alguno/s de los dos requisitos enumerados en convocatoria ordinaria pero no todos, se le mantendrán de cara a la convocatoria extraordinaria las calificaciones de aquellas partes que sí hubiera superado. Así en esta convocatoria tan sólo habrá de superar las partes pendientes.

En caso de que el alumno no haya superado la parte correspondiente a elaboración de trabajos y resolución de casos prácticos, se le pedirá que entregue todo trabajo solicitado por los profesores y no entregado durante el curso para que vuelva a ser evaluado.

NORMATIVA: Todos los elementos susceptibles de evaluación estarán supeditados a lo establecido en la Normativa de Evaluación de la Escuela de Postgrado y Formación Permanente de la UFV y la Normativa de Convivencia de la Universidad.

Las conductas de plagio, así como el uso de medios ilegítimos en las pruebas de evaluación, serán sancionados conforme a lo establecido en dichas normativas. El profesorado tiene a su disposición una herramienta informática antiplagio que podrá utilizar según lo estime necesario.

El alumno estará obligado a aceptar los permisos de uso de la herramienta para que esa actividad sea calificada convenientemente.

USO ÉTICO Y RESPONSABLE DE LA INTELIGENCIA ARTIFICIAL

1.- El régimen de uso de cualquier sistema o servicios de Inteligencia Artificial (IA) vendrá determinado por el

criterio del profesor, pudiendo ser utilizada solo en la forma y supuestos en que así lo indique y, en todo caso, con sujeción a los siguientes principios:

- a) El uso de sistemas o servicios de IA deberá acompañarse de una reflexión crítica por parte del alumno sobre su impacto y/o limitaciones en el desarrollo de la tarea o trabajo encomendado.
- b) Se justificará la elección de los sistemas o servicios de IA utilizados, explicando sus ventajas respecto a otras herramientas o métodos de obtención de la información. Se describirá con el mayor detalle posible el modelo elegido y la versión de IA utilizada.
- c) El uso de sistemas o servicios de IA debe ser citado adecuadamente por el alumno, especificando en qué partes del trabajo se ha utilizado, así como el proceso creativo desarrollado. Puedes consultar el formato de citas y ejemplos de uso en la web de la Biblioteca (https://www.ufv.es/gestion-de-la-informacion_biblioteca/).
- d) Se contrastarán siempre los resultados obtenidos a través de sistemas o servicios de IA. Como autor, el alumno es responsable de su trabajo y de la legitimidad de las fuentes utilizadas en el mismo.

2.- En todo caso, el uso de sistemas o servicios de IA deberá respetar siempre y en todo momento los principios de uso responsable y ético que rigen en la universidad y que pueden consultarse en la [Guía de Buen Uso de la Inteligencia Artificial en los Estudios de la UfV](#). Además, el profesor podrá recabar del alumno otro tipo de compromisos individuales cuando así lo estime necesario.

3.- Sin perjuicio de lo anterior, en caso de duda sobre el uso ético y responsable de cualquier sistema o servicio de IA, el profesor podrá optar por la presentación oral de cualquier trabajo o entrega parcial solicitado al alumno, siendo esta la evaluación prevalente sobre cualquier otra prevista en la Guía Docente. En dicha defensa oral, el alumno deberá demostrar su conocimiento de la materia, justificando sus decisiones y el desarrollo de su trabajo.

BIBLIOGRAFÍA Y OTROS RECURSOS

Básica

Produced by Phacilitate. Biotech and money THE CHALLENGES AND OPPORTUNITIES OF THE ADVANCED THERAPY SECTOR. A guide to successful investment. ADVANCED THERAPIES INVESTMENT REPORT 2017

Bryan S. Riley and Xuhong Li Quality by Design and Process Analytical Technology for Sterile Products— Where Are We Now? AAPS PharmSciTech, Vol. 12, No. 1, March 2011; DOI: 10.1208/s 12249-010-9566-x

B. Brake and A. Ganan Jimenez Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs); European Experience and Challenges European Medicines Agency ASEAN training. Kuala Lumpur; 2011

Página WEB de interés: Database of privately and publicly funded clinical studies conducted around the world. <https://clinicaltrials.gov/> 2023

Department of Health and Human Services Food and Drug Administration Center for Biologics Evaluation and Research Guidance for Industry. Preclinical Assessment of Investigational Cellular and Gene Therapy Products. <http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/GuidanceComplianceRegulatoryInformation/Guidances/default.htm> 2013

European Medicines Agency Regulatory challenges of Advanced Therapies. Nordic Life Science Days Stockholm 15.10.2013 Guideline on the non-clinical studies required before first clinical use of gene therapy medicinal products European Medicines Agency <http://www.emea.europa.eu> 2008. London 30 May 2008

Cui-Cui Maa, Zhen-Ling Wang, Ting Xua,b, Zhi-Yao Hea,b, Yu-Quan Weia The approved gene therapy drugs worldwide: from 1998 to 2019 Biotechnology Advances Volume 40, May–June 2020 <https://doi.org/10.1016/j.biotechadv.2019.107502>

Complementaria

Ricardo Sanz-Ruiz, Alberto Núñez-García, Enrique Gutiérrez-Ibañes, Adolfo Villa-Arranz, María Eugenia Fernández-Santos, Pedro L. Sánchez-Fernández y Francisco Fernández-Avilés Resultados clínicos de las técnicas regenerativas en medicina cardiovascular Rev Esp Cardiol Supl. 2013;13(E):81-91

Página WEB de interés Approved Cellular and Gene Therapy Products <https://www.fda.gov/vaccines-bloodbiologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products> 2023

Página WEB de interés: Real Decreto 477/2014, de 13 de junio, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial https://www.boe.es/diario_boe/txt.php?id=BOE-A-2014-6277 2014

Tycho I.G. van der Spoel, Sanne J. Jansen of Lorkeers, Pierfrancesco Agostoni, Eric van Belle, Mariann Gyöngyösi, Joost P.G. Sluijter, Maarten J. Cramer, Pieter A. Doevendans, and Steven A.J. Chamuleau Human relevance of pre-clinical studies in stem cell therapy: systematic review and meta-analysis of large animal models of ischaemic heart disease Cardiovascular Research 91, 649–658; 2011
doi:10.1093/cvr/cvr113