

# Guía Docente

## DATOS DE IDENTIFICACIÓN

Titulación:	Master Universitario en Terapias Avanzadas e Innovación Biotecnológica
-------------	--

Rama de Conocimiento:	Ciencias de la Salud
-----------------------	----------------------

Facultad/Escuela:	Ciencias Biosanitarias
-------------------	------------------------

Asignatura:	Desarrollo de Medicamentos de Terapia Avanzada (ATMPs)
-------------	--

Tipo:	Obligatoria
-------	-------------

Créditos ECTS:	3,50
----------------	------

Curso:	1
--------	---

Código:	8958
---------	------

Periodo docente:	Segundo semestre
------------------	------------------

Materia:	Investigación Traslacional
----------	----------------------------

Módulo:	Terapias Avanzadas
---------	--------------------

Tipo de enseñanza:	Presencial
--------------------	------------

Idioma:	Castellano
---------	------------

Total de horas de dedicación del alumno:	87,50
--	-------

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.

## OBJETIVO

El principal objetivo es que el alumnos comprenda los pasos a emplear para diseñar un medicamento de terapias avanzadas desde la investigación básica hasta su llegada a la clínica

## CONOCIMIENTOS PREVIOS

Conocimientos básicos de biología

## CONTENIDOS

- Investigación Traslacional
- Epidemiología Clínica y selección del paciente objetivo: identificación del objetivo terapéutico
  - Eficacia y seguridad
- 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
- Producción de una ATMP: Plan de negocio y búsqueda de financiación
  - Etapas de un plan de investigación traslacional para el desarrollo de un ATMP
  - 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
  - Desarrollo de un plan de negocio
  - Búsqueda de financiación

## 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 las materias.

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

ACTIVIDAD PRESENCIAL	TRABAJO AUTÓNOMO/ACTIVIDAD NO PRESENCIAL
29,50 horas	58 horas

## COMPETENCIAS

Competencias básicas / generales / transversales

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 analizar y sintetizar las ideas y contenidos principales de todo tipo de textos; descubrir las tesis contenidas en ellos y los temas que plantea, y juzgar críticamente sobre su forma y contenido

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**

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

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

Saber 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

Comprende la pruebas de concepto necesarias para proponer un ATMP

Comprende 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

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

## SISTEMA DE EVALUACIÓN DEL APRENDIZAJE

Participación en clases teóricas y prácticas, aula virtual, tutorías...). 5-20%

Elaboración de trabajos, proyectos y resolución de casos prácticos. 30-80%

Pruebas y exámenes de contenido teórico y/o práctico con diversas estrategias evaluativas: pruebas con preguntas de opción múltiple, preguntas cortas, preguntas de desarrollo, pruebas prácticas, pruebas orales, etc. 20-50%

## BIBLIOGRAFÍA Y OTROS RECURSOS

### Básica

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 (2011) 91, 649–658; doi:10.1093/cvr/cvr113

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

Ricardo Sanz-Ruiz, Eugenia Fernández-Santos, Marta Domínguez-Muñoz, Radoslaw Parma, Adolfo Villa, Lucía Fernández, Pedro L. Sánchez, and Francisco Fernández-Avilés  
Early Translation of Adipose-Derived Cell Therapy for Cardiovascular Disease  
Cell Transplantation, Vol. 18, pp. 245–254, 2009

Guideline on the non-clinical studies required before first clinical use of gene therapy medicinal products  
European Medicines Agency <http://www.emea.europa.eu>  
© European Medicines Agency, 2008. London 30 May 2008 EMEA/CHMP/GTWP/125459/2006

Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs); European Experience and Challenges  
Presented by: B. Brake and A. Ganan Jimenez  
European Medicines Agency  
ASEAN training. Kuala Lumpur. 31 May 2011

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

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

Regulatory challenges of Advanced Therapies.  
Nordic Life Science Days  
Stockholm 15.10.2013