

# Guía Docente

## DATOS DE IDENTIFICACIÓN

Titulación:	Master Universitario en Terapias Avanzadas e Innovación Biotecnológica		
Rama de Conocimiento:	Ciencias de la Salud		
Facultad/Escuela:	Ciencias Experimentales		
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.

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 emplear para diseñar un medicamento de terapias avanzadas desde la investigación básica hasta su llegada a la clínica

Los fines específicos de la asignatura son:

Los alumnos se formarán en el proceso de desarrollo de un nuevo fármaco de la mano de expertos del área con el objetivo de dar respuesta a una necesidad de la sociedad actual.

Los alumnos adquirirán los conocimientos y herramientas necesarias para analizar y diseñar una prueba de concepto, conocer, comprender y dominar las fases de exploración y confirmación en el desarrollo de un fármaco atendiendo a la autorización reglamentaria y a la ética.

Los alumnos conocerán las diferentes fases de desarrollo de un fármaco y su aplicación respetando los derechos fundamentales de las personas.

## CONOCIMIENTOS PREVIOS

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

## 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.

Tutorías individuales o grupales: 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

ACTIVIDAD PRESENCIAL	TRABAJO AUTÓNOMO/ACTIVIDAD NO PRESENCIAL
29,50 horas	58 horas
Introducción 1h Investigación Traslacional 2h Investigación preclínica. Eficacia y seguridad 2h Definición y tipos de pruebas de concepto 2h Estudios de eficacia, seguridad, biodistribución toxicidad, carcinogénesis, teratogénesis. 4h Investigación clínica. Fases de la investigación clínica, diseño de ensayos clínicos, confirmatorios de eficacia y seguridad. 3h Epidemiología clínica y selección del paciente objetivo: identificación del objetivo terapéutico. 3h Producción de un ATMP; Plan de negocios y búsqueda de financiación. 4h Etapas de un plan de investigación traslacional para el desarrollo de un ATMP. 4h Tutorías 2h Examen 2,50h	Búsqueda y revisión bibliográfica 10h Preparación Trabajo en equipo 30h Preparación tutorías 5h Preparación examen 13h

## 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.

### **Competencias generales**

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 las 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**

Convocatoria ordinaria:

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

Elaboración de trabajos, proyectos y resolución de casos prácticos. 75%

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%

Convocatoria de extraordinaria:

En caso de que en la convocatoria ordinaria el alumno haya cumplido alguno/s de los cuatro 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.

## BIBLIOGRAFÍA Y OTROS RECURSOS

### Básica

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

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

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

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

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

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

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

Tycho I.G. van der Spoel, Sanne J. Jansen of Lorkeers, Pierfrancesco Agostoni, Eric van Belle, Mariann Gyöngyösi, Joost P.G. Sluiter, 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