

6.2.1. Ficha das unidades curriculares

6.2.1.1. Unidade curricular:

Terapias Médicas Avançadas

6.2.1.1. Curricular Unit:

Advanced Medical Therapies

6.2.1.2. Docente responsável e respectivas horas de contacto na unidade curricular:

Cecília Ribeiro da Cruz Calado

Responsible academic staff member and lecturing load in the curricular unit

6.2.1.3. Outros docentes e respectivas horas de contacto na unidade curricular / *Other academic staff and lecturing load in the curricular unit:*

1000 caracteres disponíveis

6.2.1.4. Objectivos de aprendizagem (conhecimentos, aptidões e competências a desenvolver pelos estudantes):

1. Aprendizagem dos processos e da relevância relativa a substâncias bio-farmacêuticas como formas de terapia inovadoras na prática clínica.
2. Aquisição dos conceitos de terapia génica humana, incluindo os sistemas de vetores usados e exemplos de aplicação, limitações e vantagens em relação a terapias convencionais.
3. Aprendizagem dos conceitos de farmacogenómica para uma terapia personalizada assim como das vantagens e limitações associadas a esta tecnologia.
4. principais estratégias utilizadas pela terapia celular e engenharia de tecidos na medicina regenerativa.
5. Sensibilizar para as questões bioéticas associadas a testes genéticos, terapia génica, farmacogenómica e de medicina regenerativa e da proteção de propriedade intelectual em processos e produtos de biotecnologia.

1000 caracteres disponíveis

Learning outcomes of the curricular unit:

1. knowledge of Bio-pharmaceutical substances as innovative therapeutic way in

- present clinical practice.
2. Acquire the basis of human gene therapy, including vectors and systems used for the applied examples, overview its limitations and advantages over conventional therapies.
 3. Review the basis for pharmacogenomics personalized therapy as well as the advantages and limitations associated with this technology.
 4. Cell therapy and tissue engineering main strategies applied to regenerative medicine.
 5. Raising awareness of bioethical issues associated with genetic testing, gene therapy, pharmacogenomics, regenerative medicine and protection of intellectual property in biotechnology products and processes.

1000 caracteres disponíveis

6.2.1.5. Conteúdos programáticos:

(Deverá ser apresentado na forma de pontos numerados, sem outra numeração. Utilizar até 10 pontos.)

1. Conceitos de farmacologia geral e estratégias de desenvolvimento de novos fármacos.
2. Substâncias Biofarmacêuticas: Relevância clínica; Principais características. Relevância da engenharia de proteínas e de alterações pós-traducionais. Conceito de biosimilar. PAT e QbD. Exemplos de aplicação.
3. Terapia Génica: Sistemas de vetores usados; Segurança; Produção de produtos de terapia génica; Silenciamento de genes: Tecnologia do RNA de interferência (RNAi); Terapias génicas associadas à terapia celular e de engenharia de tecidos.
4. Farmacogenómica: mecanismos genéticos.. Exemplos da variação da sensibilidade de pacientes a vários fármacos em função de polimorfismos genéticos. Exemplos de aplicação na terapia personalizada, para biomarcadores e no desenvolvimento de novos fármacos. ~
5. Organização de tecidos, matriz extracelular, moléculas de aderência, comunicação entre células e interações relevantes; Metabolismo celular e cultura de células e tecidos; Métodos de obtenção de células primárias e estaminais, isolamento, imortalização e manutenção; Exemplos de terapia celular e de tecidos.
6. Bioética associada a testes genéticos, terapia génica , farmacogenómica e da proteção de propriedade intelectual em processos e produtos de biotecnologia.

1000 caracteres disponíveis

Syllabus:

1. Concepts of general pharmacology and strategies for new drugs development.
- 2 Biopharmaceutical substances: Main characteristics. Protein engineering and post-translational modifications. Biosimilar. PAT and QbD.
- 3 Gene Therapy: Vectors-enhanced Systems; Security; Production of gene therapy. Gene silencing: RNA interference technology (RNAi). Gene therapies associated with cell & tissue engineering.
- 4 Pharmacogenomics: Genetic mechanisms. Examples of the variation in the patient sensitivity to drugs due to genetic polymorphisms. Application examples in personalized therapy, for biomarkers and development of new drugs.
5. Tissue organization, extracellular matrix, adhesion molecules, cellular communication and relevant interactions; Cell metabolism. Cell culture and tissue culture; Methods for obtaining primary and stem cells. Isolation and cell immortalization techniques. Methods for cell line maintenance. Examples of cell therapy and tissue engineering.
- 6 Bioethics associated with genetic testing, gene therapy, pharmacogenomics and protection of intellectual property in biotechnology products and processes.

1000 caracteres disponíveis

6.2.1.6. Demonstração da coerência dos conteúdos programáticos com os objectivos da unidade curricular.

Para que o aluno apreenda a aplicabilidade de Terapias Humanas Avançadas serão abordados os conceitos gerais da farmacologia e do processo avançado de desenvolvimento de novos medicamentos. Apenas após esta compreensão é que será abordada a aplicação de ácidos nucleicos e de proteínas e de engenharia de proteínas como medicamentos inovadores. Numa fase seguinte é incluída a noção de terapia génica, os principais vetores usados, a questão de segurança associada quer aos vetores quer à terapia em si, como exemplos de aplicação já implementados incluindo em testes clínicos. Com a introdução da terapia génica serão abordados os conceitos de farmacogenómica para a terapia humana personalizada, as suas vantagens e limitações. Associados a todos estes conceitos serão abordadas algumas questões éticas, como sejam de aplicação de testes genéticos, terapia génica, farmacogenómica, medicina regenerativa e da proteção de propriedade intelectual em processos e produtos de biotecnologia.

3000 caracteres disponíveis

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

In order to students understand the Advanced Therapies, in this unit general concepts of pharmacology and process development of new drugs will be discussed. Then, protein engineering using nucleic acids and proteins will be addressed as an innovative application. Its limitations and advantages will be also addressed.

Afterwards notions of gene therapy by Key-vectors, its security issues will be reviewed as well as some application examples that already are in clinical trials. After that, the gene therapy, pharmacogenomics concepts for personalized human therapy will be presented as well its advantages and limitations. Along that, the ethical issues in the application of genetic testing and gene therapy, pharmacogenomics, regenerative medicine and intellectual property protection for biotechnology products and processes will be discussed.

3000 caracteres disponíveis

6.2.1.7. Metodologias de ensino (avaliação incluída):

Metodologias de Ensino:

Nesta UC são utilizadas aulas expositivas para a exploração de conceitos teóricos e aulas, acompanhadas de aulas Teórico-práticas e laboratoriais. O estudo em aulas teóricas de bloco de matéria implica sempre ou uma aula teórico-prática ou uma aula laboratorial de forma a fortalecer os conhecimentos ministrados nas aulas teóricas.

A avaliação baseia-se numa componente de avaliação contínua:

Avaliação contínua:

Constituída por uma Apresentação Oral (AO) de um artigo científico sobre uma temática do programa, assim como pelos Relatórios das Aulas Laboratoriais (RAL).

A nota da componente de avaliação contínua é obtida por:

$$CE = 0.7AO + 0.3RL$$

Avaliação por exame:

Realização de um exame (E) com 2h duração. NE \geq 9,5.

Classificação final, NF= 0,4 CE + 0, 6 NE. Aprovação com NF \geq 9,5

Arredondamento às unidades. Por defeito antes das cinco décimas, por excesso a partir de cinco décimas.

1000 caracteres disponíveis

Teaching methodologies (including evaluation):

Teaching methodologies:

In this curricular unit two types of class were used: expositive to explore the theoretical concepts, and active lessons (TP or Lab) involving the participation of students in problem solving in order to explore aspects of each principal physiological system.

The evaluation is based on a continuous evaluation (CE) and by an Exam (WE), as follows:

Continuous evaluation (CE):

The continuous evaluation is constituted by the accomplishment of an oral presentation (OP) of an scientific article concerning an technique used to study a physiological system function, and by Laboratory reports (LAB), as follows:

$$CE = 0.7OP + 0.3LAB$$

The written exam (WE) is 2h long, and to be approved, Students must have a score WE ≥ 9.5

Formula for the calculation of Final Score (FS) is:

$$FS = 0,3 CE + 0,7 WE. \text{ To be approved, Students must have a } FS \geq 9,5$$

Rounded to units. By defect, beneath five tenths, per excess, from five tenths.

1000 caracteres disponíveis

6.2.1.8. Demonstração da coerência das metodologias de ensino com os objectivos de aprendizagem da unidade curricular.

A utilização de aulas expositivas e ativas no processo de aprendizagem permite exemplificar a aplicação dos conceitos teóricos transmitidos aos alunos. Durante as aulas os alunos são chamados a intervir na resolução de problemas havendo preocupação de fazer a ligação entre as matérias lecionadas nesta unidade curricular e as matérias lecionadas em unidades curriculares anteriores.

A componente de avaliação contínua e da prestação em aulas laboratoriais força os alunos a um acompanhamento mais ativo da matéria ao longo do semestre, contribuindo para a melhoria dos resultados da aprendizagem.

A componente da avaliação Exame envolve todos os conceitos transmitidos permitindo uma avaliação correta dos alunos que cumpriram os objetivos de aprendizagem estipulados.

3000 caracteres disponíveis

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

The use of expository lectures and active classes in the learning process allows to understand the application of theoretical concepts taught to students. During classes students are stimulated to participate in problem solving. In the problem solving they connect the topics taught in this course and the topics taught in previous courses.

The introduction of the continue component evaluation force students to maintain an ongoing study and monitoring during the semester contributing to the improvement of learning outcomes. The evaluation component exam involves all concepts transmitted allowing a correct evaluation of students that met the learning objectives stipulated.

3000 caracteres disponíveis

6.2.1.9. Bibliografia principal / Main Bibliography:

Gabrielsson, J., Hjorth, S . Quantitative Pharmacology: An Introduction to Integrative Pharmacokinetic-Pharmacodynamic Analysis. Swedish Pharmaceutical Press, 2012.

Khan, F.A. Biotechnology in Medical Sciences. CRC Press, 2014.

Park, S.J. and Cochran, J.R. Protein Engineering and Design. CRC press. 2009.

Templeton, N.S. Gene and Cell Therapy: Therapeutic Mechanisms and Strategies. Third Edition. CRC Press, 2008.

Fisher, J.P., Mikos, A.G., Bronzino, J.D., Peterson, D.R. Tissue Engineering: Principles and Practices. CRC Press, 2012.

Jan Trost Jorgensen, Henrik Winther. Molecular Diagnostics: The Key in Personalized Cancer Medicine. Pan Stanford , 2010.

Liu, Y. Omics in Clinical Practice: Genomics, Pharmacogenomics, Proteomics, and Transcriptomics in Clinical Research. Apple Academic Press, 2014.

Vaughn, L. Bioethics: Principles, Issues and Cases. 2nd ed. Oxford University Press, 2012.

1000 caracteres disponíveis