



5^o Simposio sobre herramientas para edición génica: ventajas y dificultades en su aplicación práctica 3^o

Organizan

5^o Jose Carlos Segovia

Unidad de Diferenciación y Citometría

División de Terapias Innovadoras en el Sistema Hematopoyético,

CIEMAT/CIBERER – IIS Fundación Jimenez Díaz

Juan Carlos Ramírez

Unidad Técnica Vectores Virales, Fundación CNIC 3^o

Madrid, 3 de Julio de 2014

Instituto de Salud Carlos III. PABELLON 12.

Sala Seminarios

(C/ Sinesio Delgado, 5 28029 Madrid)

SIMPOSIO SOBRE NUEVAS HERRAMIENTAS PARA EDICIÓN GÉNICA: BENEFICIOS Y DIFICULTADES EN SU DESARROLLO Y UTILIZACIÓN

Madrid, 3 de Julio de 2014

Instituto de Salud Carlos III. PABELLON 12. Sala Seminarios
(C/ Sinesio Delgado, 5 28029 Madrid)

Asistimos entusiasmados a los avances que la EDICIÓN GÉNICA está teniendo en los últimos cinco años. Pocos dudan de que este campo de trabajo ofrece un potencial extraordinario a la investigación en general, la genómica funcional, la patología molecular y los modelos de enfermedad que han de traducirse en perspectivas terapéuticas casi impensables hace una década.

Estamos convencidos de que en nuestro país este trabajo está también generando importantes frutos aunque dificultado en su competitividad por la fuerza y el liderazgo en el campo de otros polos de investigación que se desarrolla en otros países. Creemos que compartir experiencias es la base de acercarnos a dicha competitividad y en este contexto organizamos esta reunión.

El objetivo de la misma es poner en común la experiencia de investigadores que estamos trabajando en España en edición génica mediada por nucleasas (ZFN, TALENs y CRISPR/Cas) y acercarla a otros que se están iniciando este campo o planean hacerlo en breve.

La reunión se plantea con un enfoque eminentemente técnico, con especial énfasis en lo aprendido, los trucos y las ventajas y defectos que algunos de nosotros hemos encontrado en nuestra experiencia. Por ello las comunicaciones no se centran en los problemas biológicos particulares sino en las estrategias tecnológicas aplicadas, sus aciertos, errores, resultados, fracasos y éxitos.

Nuestro deseo es que esta reunión sirva para el lanzamiento en la web de la Sociedad Española de Terapia Génica y Celular de un foro que promueva la colaboración entre los que se acerquen a este campo, haciéndola más competitiva y eficiente en un entorno global que avanza demasiado deprisa para no estar alerta.



PROGRAMA

- 10:45 Bienvenida**
José Carlos Segovia (CIEMAT/CIBERER – IIS-FJD, Madrid)
Juan Carlos Ramírez (CNIC, Madrid)
- 11:00 NUCLEASAS ZINC-FINGER (ZFNS)**
- 11:00-11:20 **Edición génica para terapia del síndrome de Wiskott-Aldrich: ZFNs versus CRISPR**
Francisco Martín (Genyo, Granada)
- 11:20-11:40 **Different ways to express ZFNs and donor depending on the cell type**
Paula Río (CIEMAT/CIBERER – IIS-FJD, Madrid)
- 11:40-12:00 **Genome editing of Cystic Fibrosis gene in hiPS cells. A direct comparison between ZFNs and TALENs**
Mavi Camarasa (FISIB-CSIC, Bunyola)
- 12:30 NUCLEASAS TALE (TALEN)**
- 12:30-12:50 **Pyruvate Kinase Deficiency correction by gene editing**
Oscar Quintana-Bustamante (CIEMAT/CIBERER – IIS-FJD, Madrid)
- 12:50-13:10 **Edición genómica mediante TALENs para la corrección de mutaciones en enfermedades genéticas de la piel**
Rodolfo Murillas (CIEMAT, Madrid)
- 13:10-13:30 **Introducción y remoción de la mutación G2019S del gen LRRK2 en una cohorte de líneas iPSC derivadas de pacientes e individuos control mediante TALENs**
Carles Calatayud (IBEC, Barcelona)
- 14:00 Comida**
- 15:00 SISTEMA CRISPR/Cas9**
- 15:00-15:20 **Engineering human cells with CRISPR system**
Raúl Torres (CNIC, Madrid)
- 15:20-15:40 **From TALENs to CRISPRs: new tools for genome editing**
Davide Seruggia (CNB, Madrid)
- 15:40-16:00 **CRISPR-mediated integration of transgenes. Transfection in cell cultures, and design of vectors for in vivo application**
Rubén Hernandez (CIMA, Pamplona)
- 16:30 Cierre**
Presentación del foro digital
Juan Carlos Ramírez / José Carlos Segovia

Entrada gratuita previa inscripción **enviando formulario** a: nadia.abu-sabha@ciemat.es

Información adicional en <http://www.setgyc.es/> o contactar con:
José Carlos Segovia (jc.segovia@ciemat.es) ó Juan Carlos Ramírez (jcramirez@cnic.es)