

# República Argentina – Universidad Nacional de Moreno "2022 - Las Malvinas son argentinas"

## Departamento de Ciencias Aplicadas y Tecnología

## Disposición

Número: UNM-DCAYT 23/22

Referencia: Anexo I

#### a) DENOMINACIÓN:

SEMINARIO TALLER: "INGENIERÍA DE GENOMAS CRISPR/CAS: MÉTODOS, DISEÑO Y APLICACIONES BIOTECNOLÓGICAS".

# b) FUNDAMENTACIÓN:

La terapia génica ha experimentado a lo largo del tiempo sucesivas mejoras y avances a partir del desarrollo en el campo de las herramientas de edición genética, potenciando la labor del biotecnólogo.

La tecnología CRISPR se aplica para editar genéticamente células primarias de pacientes con alguna enfermedad rara, con el objetivo de generar un modelo de estudio o de abordar un protocolo de terapia génica. Esta tarea supone asimismo el dominio de métodos y técnicas y la resolución de retos y problemas a los que hay que enfrentarse, para lo cual es necesario introducirse en temáticas tales como: Breaking-Cas para el diseño optimizado de guías de ARN a utilizar en experimentos de edición genética mediante CRISPR; validación de guías CRISPR en células y en el laboratorio antes de utilizarlos en animales y preparación de reactivos para su microinyección en embriones de ratón; aspectos relevantes en un experimento de edición genética, en células o animales; utilización en embriones; utilización en células somáticas; selección de plásmidos y diseño *in silico* de sondas.

El presente Taller/Curso favorecerá el conocimiento y la reflexión docente sobre los alcances e implicancias del uso de esta tecnología, como así también su incorporación a las actividades de docencia e investigación de la Carrera de Biotecnología.

#### c) OBJETIVOS:

- > Conocer el estado del arte y las aplicaciones biomédicas de CRISPR.
- > Debatir el desarrollo actual y los alcances futuros de esta nueva biotecnología.
- Familiarizarse con el sistema de edición de genomas CRISPR, a fin de utilizarlo en la investigación y la docencia en el laboratorio de biología molecular.

#### d) PROGRAMA:

#### 1°Encuentro:

Introducción inicial general sobre el sistema CRISPR/Cas. Estado del arte pasado, actual y futuro de la edición génica y la tecnología CRISPR. Aplicaciones biomédicas de CRISPR. Breaking-Cas para el diseño optimizado de guías de ARN a utilizar en experimentos de

edición genética mediante CRISPR. Aproximación a la terapia génica usando las sucesivas mejoras y avances que se han ido produciendo en el campo de las herramientas de edición genética. Aplicaciones en vegetales (New Breeding Techniques NBTs).

#### 2°Encuentro:

Aspectos relevantes en un experimento de edición genética, en células o animales. Utilización en embriones; Introducción del Sistema CRISPR/Cas9 (CRISPR-ON); Utilización en células somáticas. Selección de plásmidos y diseño *in silico* de sondas para CRISPR/Cas9.

#### 3°Encuentro:

Nuevas herramientas para la detección de ácidos nucleícos, proteínas CAS con actividades alternativas y sensibles. Enfoques de herramientas CRISPR/Cas12 diagnósticas, prácticas para la detección de patógenos y enfermedades. Desarrollo de una plataforma de diagnóstico molecular de los virus ZIKV, SARS-Cov-2 y Sarampión mediante la técnica RT-LAMP/CRISPR-Cas12

#### 4°Encuentro:

Responsabilidad y edición génica. Desafíos bioéticos que presentan estas tecnologías y la responsabilidad colectiva de pensar como regular, en tanto sociedad, estas nuevas tecnologías. Espacio reservado para un debate Exponiendo los retos y problemas a los que hay que enfrentarse para editar genéticamente células primarias de pacientes con alguna enfermedad rara, con el objetivo de generar un modelo de estudio o de abordar un protocolo de terapia génica.

## e) MODALIDAD:

Presencial con una frecuencia semanal durante cuatro semanas.

La actividad tendrá una carga horaria total de DIECISÉIS (16) horas, distribuidas en CUATRO (4) encuentros de CUATRO (4) horas cada uno.

Cada encuentro consistirá en presentaciones y exposiciones, donde se introducirán herramientas y estrategias, seguidos de espacios para preguntas y debate.

## f) BIBLIOGRAFÍA:

Gootenberg JS et al. Nucleic acid detection with CRISPR-Cas13a/C2c2. Science 356, 438–442, doi:10.1126/science.aam9321 (2017). Dow LE et al. Inducible in vivo genome editing with CRISPR-Cas9. Nat Biotechnol 33, 390–394, doi:10.1038/nbt.3155 (2015).

Hsu PD, Lander ES & Zhang F Development and applications of CRISPR-Cas9 for genome engineering. Cell 157, 1262–1278, (2014).



# República Argentina – Universidad Nacional de Moreno "2022 - Las Malvinas son argentinas"

#### Departamento de Ciencias Aplicadas y Tecnología

#### Disposición

Makarova KS et al. An updated evolutionary classification of CRISPR-Cas systems. Nat Rev Microbiol 13, 722–736, (2015).

Nelles DA et al. Programmable RNA Tracking in Live Cells with CRISPR/Cas9. Cell 165, 488–496, (2016).

Pickar-Oliver, A., & Gersbach, C. A. (2019). The next generation of CRISPR-Cas technologies and applications. Nature reviews. Molecular cell biology, 20(8), 490–507.

Suzuki K et al. In vivo genome editing via CRISPR/Cas9 mediated homology-independent targeted integration. Nature 540, 144–149, (2016).

Vakulskas CA et al. A high-fidelity Cas9 mutant delivered as a ribonucleoprotein complex enables efficient gene editing in human hematopoietic stem and progenitor cells. Nat Med 24, 1216–1224, (2018).

#### f) PARTICIPANTES:

El dictado del presente taller de capacitación docente estará a cargo de los docentes de la Licenciatura en Biotecnología:

#### Dr. Leonardo Romorini.

Licenciado en Ciencias Biológicas en la Facultad de Ciencias Exactas y Naturales de la Universidad de Buenos Aires. Realizó su doctorado en el IFIBYNE y en el Departamento de Química Biológica, FCEyN, UBA. Profesor Adjunto de la asignatura Biotecnología de la Carrera de la Licenciatura en Biotecnología DCAyT UNM. Investigador Adjunto CONICET. Actualmente su grupo de trabajo se dedica a Modelado de enfermedades neurodegenerativas, en particular enfermedad de Alzheimer, a partir de la generación de células madre pluripotentes inducidas humanas (iPs) mediante reprogramación de células de pacientes y posterior diferenciación a fenotipo neural en 2 y 3 dimensiones.

#### Lic. Ramiro Perrotta.

Licenciado en Biotecnología UNQ. Doctor Área Química Biológica FCEN-UBA. Docente Ordinario Área de Biología y Microbiología General, en la asignatura Introducción a la Biotecnología de la Carrera de la Licenciatura en Biotecnología DCAyT UNM. Investigador en Onco-Inmunología en el Laboratorio de Inmunopatología IBYME-CONICET. Actual Becario Post-Doctoral, de la organización Revive & Restore de los Estados Unidos de América. Investigador en el laboratorio del Dr. George Church del Department of Genetics, Harvard Medical School.

Invitados especiales:

Dra. Josefina Caillava. Investigadora Instituto de Biotecnología IABIMO INTA.

Dr. Esteban Hopp. Investigador Instituto de Biotecnología IABIMO INTA.

Dr. Federico Pereyra Bonnet. Investigador UBA-CONICET, Fundador CASPR Biotech.

Coordinación de la carrera Licenciatura en Biotecnología, del Departamento de Ciencias Aplicadas y Tecnología.

## g) DESTINATARIOS Y CONDICIONES DE ADMISIÓN:

Ser docente, auxiliar estudiante o graduado y/o estudiante del Ciclo Superior de la carrera de LICENCIATURA EN BIOTECNOLOGÍA. Abierto a docentes de otras carreras de la UNM.

## h) CERTIFICACIÓN:

De ASISTENCIA, con una participación mínima del OCHENTA POR CIENTO (80%), o de APROBACIÓN en caso de realización en tiempo y forma de la actividad integradora final.

- i) RESPONSABLE: Coordinación de la carrera Licenciatura en Biotecnología, del Departamento de Ciencias Aplicadas y Tecnología.
- j) ARANCELES: Sin arancelar.