Sociedad Española Terapia Génica y Celular

TerCel Red de Terapia Celular

ciberer

5’ II Simposio sobre herramientas para edición génica: Estrategias y aplicaciones 3’

Organizan

5’ **José Carlos Segovia**

Unidad de Diferenciación y Citometría

División de Terapias Innovadoras en el Sistema Hematopoyético.

CIEMAT/CIBERER-ISCIII – IIS Fundación Jimenez Díaz

Juan Carlos Ramírez

VIVEbioTECH. San Sebastián

Lluís Montoliu

Centro Nacional de Biotecnología-CSIC

CIBERER-ISCIII 3’

Madrid, 11 de Noviembre de 2016

Salon de Actos del CIEMAT

Avda. Complutense, 40

28040 Madrid

CNB Centro Nacional de Biotecnología

Excelencia Severo Ochoa

CSIC Consejo Superior de Investigaciones Científicas

Ministerio de Economía y Competitividad

Diseño PacManChrom by RTorres and SRodriguez

Gobierno de España · Ministerio de Economía y Competitividad

Ciemat Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas

IIS FJD Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz

VIVEbioTECH gene transfer technologies

Sociedad Española Terapia Génica y Celular

TerCel Red de Terapia Celular

ciberer

II SIMPOSIO SOBRE NUEVAS HERRAMIENTAS PARA EDICIÓN GÉNICA: ESTRATEGIAS Y APLICACIONES

Madrid, 11 de Noviembre de 2016

En julio de 2014 tuvo lugar el **I Simposio sobre herramientas para edición génica: ventajas y dificultades en su aplicación práctica**, en el ISCIII. Dos años más tarde volvemos a organizar una segunda edición del simposio, esta vez centrado en estrategias y aplicaciones. En estos dos años hemos sido testigos de una verdadera explosión metodológica en el uso de las herramientas CRISPR-Cas, que han logrado introducirse, con éxito, en prácticamente todos los ámbitos de la biología y la biomedicina. Han aparecido nuevos usos, aplicaciones innovadoras y técnicas muy útiles para el análisis genómico funcional, todas ellas, directa o indirectamente usando alguna de las múltiples variantes de la tecnología CRISPR-Cas.

Este segundo simposio estará enfocado a discutir las diversas aplicaciones de las herramientas CRISPR-Cas, y otras nucleasas de edición, que ya están ocurriendo en diversos laboratorios del país, tanto en laboratorios de investigación básica, como en unidades de investigación aplicada, más traslacional. En este último caso, con el interés puesto en el desarrollo de nuevas terapias experimentales, utilizando modelos celulares y animales, para poder ser finalmente trasladadas a los pacientes. De hecho, el campo de las enfermedades raras es uno de los que más se ha podido beneficiar de esta revolución metodológica, siendo posible ahora generar nuevos modelos celulares y animales de muchas enfermedades raras para los que no existían este tipo de aproximaciones experimentales hasta el momento, así como desarrollar terapias basadas en la corrección genética mediante protocolos potencialmente extrapolables a la clínica en un futuro no tan lejano.

Todos aquellos laboratorios del país que estén ya utilizando estas tecnologías, o tengan previsto lanzarse a usarlas próximamente son bienvenidos a participar en el Simposio y a contribuir, con la discusión de los diferentes temas, a aumentar nuestro conocimiento colectivo de las diversas soluciones tecnológicas que permiten las CRISPR-Cas y otras nucleasas de reciente aparición.

Os esperamos en Madrid, el viernes 11 de noviembre.

José Carlos Segovia, Juan Carlos Ramírez y Lluís Montoliu

ASISTENCIA LIBRE Y GRATUITA PREVIO REGISTRO EN: **http://www.ciberer.es/agenda/ii-simposio-sobre-herramientas-para-edicion-genica-estrategias-y-aplicaciones**

Diseño PacManChrom by RTorres and SRodriguez

Sociedad Española Terapia Génica y Celular

TerCel Red de Terapia Celular

ciberer

PROGRAMA

9:30 Registro de participantes

9:50 **José Carlos Segovia**, **Juan Carlos Ramírez**, **Lluís Montoliu**
Bienvenida (organizadores)

10:00 **Francis Mojica** (Univ. Alicante)
Introducción a las CRISPR

10:25 **Lluís Montoliu** (CNB/CIBERER, Madrid)
CRISPR en embriones/animales

10:40 **José Carlos Segovia** (CIEMAT/CIBERER, Madrid)
CRISPR en células/terapia

10:55 **Juan Carlos Ramírez** (VIVEbioTech, San Sebastián)
CRISPR en virus/empresa

11:10 **Juan Carlos Oliveros** (CNB, Madrid)
Breaking-Cas: diseño de sgRNAs libres de off-targets para más de 800 genomas

11:20 **Raúl Torres** (Fund. Josep Carreras, Barcelona/CNIO, Madrid)
Optimización del sistema CRISPR-Cas9 para su utilización en células primarias humanas

11:30 Pausa para café

12:00 **Óscar Fernández-Capetillo** (CNIO, Madrid)
Genome wide loss- and gain- of function screenings in mammalian stem cells through CRISPR-Cas9

12:20 **Francisco Martín** (GENYO, Granada)
Nucleasas en modelos celulares de enfermedad

12:40 **Julio Castaño** (Fund. Josep Carreras, Barcelona)
Edición génica mediante CRISPR-Cas9: Aplicaciones prácticas en células humanas

12:50 **Sagrario Ortega** (CNIO, Madrid)
De gene targeting a gene editing: estamos al final del trayecto?

13:10 **Jaime Carvajal** (CABD, Sevilla)
CRISPR/Cas9 for point mutations, deletions and insertions in the mouse genome

13:20 **Daniel Bachiller** (Fund. CAUBET-CIMERA, Palma de Mallorca)
Aplicación de las herramientas de edición genética para la curación del SIDA

Información adicional contactar con los organizadores:
jc.segovia@ciemat.es - jcramirez@vivebiotech.com - montoliu@cnb.csic.es

Sociedad Española Terapia Génica y Celular

TerCel Red de Terapia Celular

ciberer

13:30 Pausa para comida (Existe una cafetería-comedor del CIEMAT justo al lado del salón de actos con un menú diario por 6 €).

14:30 **Juan Rodríguez** (Univ Navarra/CIMA, Pamplona)
CRISPR/Cas mediated in vivo gene editing: Therapeutic potential for metabolic rare diseases

14:50 **Rodolfo Murillas** (CIEMAT, Madrid)
Edición génica para corrección de la Epidermolisis Bullosa mediante TALEN

15:00 **Paola Bovolenta** (CBMSO/CIBERER, Madrid)
Editing the zebrafish genome for the in vivo study of Shh signaling

15:20 **Almudena Fernández** (CNB/CIBERER)
Nuevos modelos animales de albinismo con CRISPR-Cas

15:30 **Paula Rio** (CIEMAT/CIBERER, Madrid)
Edición génica para el tratamiento de la Anemia de Fanconi: HR versus NHEJ

15:40 **Gemma Marfany** (UB/CIBERER, Barcelona)
Generación de modelos de ratón para las distrofias de retina con pequeñas y grandes deleciones mediante CRISPR/Cas9

15:50 **Oscar Quintana Bustamante** (CIEMAT/CIBERER/IIS-FJD, Madrid)
Edición génica mediada por TALEN o CRISPR/Cas9 utilizando matrices convencionales y ssODN

16:00 **José Carlos Segovia**, **Juan Carlos Ramírez**, **Lluís Montoliu**
Discusión general

17:00 Café de Despedida, fin del workshop

ASISTENCIA LIBRE Y GRATUITA PREVIO REGISTRO EN:
http://www.ciberer.es/agenda/ii-simposio-sobre-herramientas-para-edicion-genica-estrategias-y-aplicaciones

Salon de Actos del CIEMAT
Avda. Complutense, 40
28040 Madrid

Información adicional contactar con los organizadores:
jc.segovia@ciemat.es - jcramirez@vivebiotech.com - montoliu@cnb.csic.es