



# 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-ISCI III – IIS Fundación Jiménez Díaz**

**Juan Carlos Ramírez**

**VIVEbioTECH. San Sebastián**

**Lluís Montoliu**

**Centro Nacional de Biotecnología-CSIC**

**CIBERER-ISCI III 3'**

**Madrid, 11 de Noviembre de 2016**

**Salon de Actos del CIEMAT**

**Avda. Complutense, 40**

**28040 Madrid**



## 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



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

Información adicional contactar con los organizadores:

[jc.segovia@ciemat.es](mailto:jc.segovia@ciemat.es) - [jcramirez@vivebiotech.com](mailto:jcramirez@vivebiotech.com) - [montoliu@cnb.csic.es](mailto:montoliu@cnb.csic.es)



- 14:10 **Jaime Carvajal** (CABD, Sevilla)  
CRISPR/Cas9 for point mutations, deletions and insertions in the mouse genome
- 14:20 **Daniel Bachiller** (Fund. CAUBET-CIMERA, Palma de Mallorca)  
Aplicación de las herramientas de edición genética para la curación del SIDA
- 14:30 **Juan Rodríguez** (Univ Navarra/CIMA, Pamplona)  
CRISPR/Cas mediated in vivo gene editing: Therapeutic potential for metabolic rare diseases
- 14:50 **Paula Río** (CIEMAT/CIBERER, Madrid)  
Edición génica para el tratamiento de la Anemia de Fanconi: HR versus NHEJ
- 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 **Rodolfo Murillas** (CIEMAT, Madrid)  
Edición génica para corrección de la Epidermolisis Bullosa mediante TALEN
- 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>

**Salón de Actos del CIEMAT**  
**Avda. Complutense, 40**  
**28040 Madrid**

Información adicional contactar con los organizadores:

[jc.segovia@ciemat.es](mailto:jc.segovia@ciemat.es) - [jcramirez@vivebiotech.com](mailto:jcramirez@vivebiotech.com) - [montoliu@cnb.csic.es](mailto:montoliu@cnb.csic.es)