



Oferta Trabajo Fin de Master (TFM):

Tutor/es: Miguel A. García González

e-mail tutor/es: miguel.garcia.gonzalez@sergas.es;

Centro/Institución/Empresa: IDIS

Título: Aplicación de nuevas herramientas de biología molecular y editado genético para el diagnóstico y terapia de la Poliquistosis Renal Autosómica Dominante (ADPKD)

Breve resumen del trabajo (< 100 palabras):

La enfermedad renal poliquística autosómica dominante (ADPKD) es un trastorno hereditario y crónico que se caracteriza principalmente por la formación bilateral y aumento progresivo de tamaño de un gran número de quistes en los riñones que culmina con fallo renal y necesidad de terapia renal sustitutiva. En la actualidad existe un único tratamiento para la ADPKD cuyo efecto es ralentizar la aparición de algunos de los signos clínicos. Este tratamiento no cura la enfermedad, por lo que existe una necesidad urgente de implementar nuevas formas de tratar la enfermedad. En este contexto, en este proyecto se plantea la búsqueda de una vía alternativa para el tratamiento de la ADPKD mediante el uso de terapia génica. La realización de este trabajo de fin de máster tiene como finalidad establecer una línea de investigación para el desarrollo de una tesis que dé continuidad al estudio. Para optar a esta opción el candidato deberá tener una nota media ponderada en el expediente académico igual o superior a 7,7.

Actividades a desarrollar:

- 1) Caracterización genética y clínica de la cohorte Nefrochus de ADPKD.
- 2) Iniciación en la tecnología de terapia génica “*Prime Editing*” (generación de pegRNA, ensayo de cultivo celular)