

**KARTA PRZEDMIOTU (SYLABUS)<sup>1</sup>**  
**OPIS PRZEDMIOTU**

Kod przedmiotu		Nazwa przedmiotu	Terapie genowe i edycja genów	
0912/URad/WNMiNoZ/ST-NST/J2-3			Gene therapy and gene editing	
Język wykładowy		Polski		
Rok akademicki		2025/2026		
Kierunek w zakresie		Lekarski		
Poziom studiów		Studia jednolite magisterskie		
Profil studiów		Ogólnoakademicki		
Forma studiów		Stacjonarne/Niestacjonarne		
Semestr/ semestry		XII letni		
Przynależność do grupy zajęć		Moduł J: Oferta uczelni. J2: Przedmioty podstawowe i przedkliniczne		
Status przedmiotu		Do wyboru		
Formy realizacji zajęć dydaktycznych, wymiar, punkty ECTS		Forma zajęć	Liczba godzin zajęć dydaktycznych	Liczba punktów ECTS
		Ćwiczenia	10 h	2 ECTS
		Seminarium	20 h	
Powiązanie przedmiotu	z profilem studiów <sup>2</sup>	Przedmiot związany z prowadzoną w Uczelni działalnością naukową i uwzględnia udział studentów w zajęciach przygotowujących do prowadzenia działalności naukowej lub udział w tej działalności w szczególności w zakresie technologii genetycznych na poziomie DNA i RNA.		2 ECTS
	z dyscypliną <sup>3</sup>	Nauki medyczne Nauki biologiczne		1 ECTS 1 ECTS
Forma nauczania <sup>4</sup>		Tradycyjna: zajęcia w siedzibie Uczelni		
Wymagania wstępne		Realizacja efektów kształcenia w zakresie wiedzy, umiejętności, kompetencji społecznych z poprzednich semestrów studiów, w tym Biologii molekularnej, Genetyki i Biochemii.		
Jednostka prowadząca		Wydział Nauk Medycznych i Nauk o Zdrowiu		
Koordynator		Dr n biol Łukasz Madej		
Adres strony internetowej pjo		https://wnminoz.uniwersytetradom.pl/		
Adres e-mail koordynatora		lukmadgen@gmail.com		

**EFEKTY UCZENIA SIĘ, TREŚCI PROGRAMOWE, REALIZACJA ZAJĘĆ DYDAKTYCZNYCH, WERYFIKACJA  
EFEKTÓW UCZENIA SIĘ**

<b>Cel kształcenia:</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Zapoznanie się z metodami modyfikacji genetycznych i ich efektami na poziomie komórkowym, organizmalnym i populacyjnym.</li> <li>2. Zrozumienie zastosowania manipulacji genetycznych w leczeniu chorób i ochronie zdrowia.</li> </ol>
<b>Treści programowe: Ćwiczenia</b>	<p><b>Ćwiczenia: 10 h prowadzonych jako 5 ćwiczeń po 2 h.</b></p> <p><b>Celem ćwiczeń jest nabycie praktycznych umiejętności związanych z modyfikacjami genetycznymi.</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Metody wprowadzania obcego materiału genetycznego do komórek: transdukcja, transfekcja i transformacja, wykorzystanie liposomów, elektroporacji, sztuczne chromosomy. <b>BN</b></li> <li>2. Wektory, typy wektorów i ich konstrukcja. Konstrukty DNA i RNA. Analiza ekspresji wprowadzonych genów (RT-qPCR). Analiza ryzyka i korzyści. <b>BN</b></li> <li>3. Modyfikowane genetycznie linie komórkowe ssaków, w tym człowieka. Charakterystyka wprowadzonych genów. Identyfikacja aberracji chromosomowych oraz analiza niestabilności genetycznej.</li> <li>4. CRISP-Cas9. Struktura sekwencji, rola enzymu Cas9, Cas12a i Cas13. Motywy helikaz i nukleaz. Biogeneza i ewolucja. <b>BN</b></li> <li>5. Analiza wykorzystywanych protokołów terapii genowej. <b>BN</b></li> </ol> <p><i>*BN: tematyka związana z działalnością naukową</i></p>
<b>Treści programowe: Seminarium</b>	<p><b>Seminarium: 20 h prowadzonych jako 10 spotkań po 2 h.</b></p> <p><b>Celem seminarium jest zapoznanie się z technikami terapii genowej i oferowanymi możliwościami leczenia chorób, a także praktyczna analiza przypadków zastosowań terapii genowej.</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Porównanie terapii somatycznej oraz terapii komórek linii płciowych. Dyskusja aspektów etycznych oraz możliwości technologicznych. <b>BN</b></li> <li>2. Terapia hemofilii typu B. Metody i analiza wyników badań klinicznych. <b>BN</b></li> <li>3. Terapia ostrego niedoboru odporności. Metody terapii. Analiza efektów i przypadków zastosowań.</li> <li>4. Terapia wrodzonej hipercholesterolemii. Analiza badań klinicznych i ocena skuteczności.</li> <li>5. Terapia mukowiscydozy. Metody terapii. Analiza badań klinicznych i ocena skuteczności.</li> <li>6. Terapie genowe w leczeniu nowotworów. Porównanie metod, analiza badań klinicznych i sporządzenie metaanalizy opisującej skuteczność terapii. <b>BN</b></li> <li>7. Terapia chorób neurodegeneracyjnych: choroby Parkinsona i choroby Alzheimera. Analiza wyników badań klinicznych.</li> <li>8. Terapia chorób serca. Analiza wyników badań klinicznych.</li> <li>9. Doping genowy. Możliwości poprawy wyników sportowych.</li> <li>10. Odbiór społeczny terapii genowej oraz edytowania genów. Wykonanie metaanalizy. <b>BN</b></li> </ol> <p><i>*BN: tematyka związana z działalnością naukową</i></p>

<p><b>Metody dydaktyczne:</b><sup>6</sup></p>	<p><b>1. Ćwiczenia</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Eksperymenty polegające na projektowaniu i konstruowaniu wektorów, wykorzystaniu różnych metod transferu genów oraz analiza ekspresji transkryptomu</li> <li>Wykorzystanie narzędzi informatycznych do konstruowania wektorów oraz przewidywania efektów terapii genowej.</li> <li>Analiza SWOT w odniesieniu do stosowanych protokołów terapii genowych.</li> </ul> <p><b>2. Seminarium</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Analiza SWOT umożliwiająca ocenę efektywności oraz efektów terapii genowej oraz określająca strategię leczenia.</li> <li>Analiza przypadków zastosowań terapii genowych w leczeniu chorób, wyciąganie wniosków i porównanie z tradycyjnymi metodami leczenia.</li> <li>Metoda stolików eksperckich mająca na celu analizę danych z opublikowanych badań klinicznych dotyczących terapii genowej.</li> <li>Prezentacja prac zespołowych i podsumowanie uzyskanych wyników.</li> </ul> <p><b>3. Praca samodzielna</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Uzupełnienie protokołów ćwiczeń, jeżeli nie zostały wykonane w trakcie zajęć.</li> <li>Przygotowanie zagadnień do seminariów w postaci referatów, prezentacji lub streszczenia konkretnych prac.</li> </ul>
<p><b>Rygor zaliczenia, kryteria oceny osiągniętych efektów uczenia się:</b></p>	<p>Warunkiem zaliczenia przedmiotu jest osiągnięcie wszystkich wymaganych dla przedmiotu efektów uczenia się. Uzyskanie pozytywnych ocen ze wszystkich form zajęć wchodzących w skład przedmiotu jest równoznaczne z jego zaliczeniem i zdobyciem przez studenta przyporządkowanej przedmiotowi liczby punktów ECTS.</p> <p><b>1. Ćwiczenia</b></p> <p>W celu uzyskania oceny pozytywnej z ćwiczeń należy:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>być obecnym na wszystkich ćwiczeniach (waga 10%);</li> <li>wypełnić i przedstawić protokół z ćwiczeń z opisem przebiegu ćwiczenia, wyników i wyciągniętych wniosków (waga 30%);</li> <li>samodzielnie zaplanować wektor wirusowy do terapii genowej (waga 30%);</li> <li>samodzielnie przeprowadzić analizę SWOT dla opublikowanych protokołów terapii genowej (waga 30%).</li> </ul> <p><b>2. Seminarium</b></p> <p>W celu zaliczenia seminarium należy:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>być obecnym na wszystkich seminariach (waga 10%);</li> <li>przedstawić analizę SWOT dla terapii genowej jako metody leczenia wybranej choroby (waga 25%);</li> <li>przygotowywać tezy do dyskusji w ramach stolików eksperckich na seminariach 2-9 (waga 40%);</li> <li>przedstawić metaanalizę dla społecznego odbioru terapii genowej (waga 25%)</li> </ul> <p><b>3. Przedmiot kończy się zaliczeniem na ocenę</b></p>
<p><b>Sposób obliczania oceny końcowej:</b></p>	<p>Sposób obliczenia oceny końcowej (dokładnej) z przedmiotu uwzględniający wszystkie jego formy określony został w Regulaminie studiów (§37-40). Ocena dokładna obliczana jest w systemie Wirtualnej Uczelni na podstawie ocen uzyskanych z poszczególnych form przedmiotu.</p> <p>Skala ocen dla poszczególnych form zajęć uwzględnianych w obliczeniu oceny dokładnej</p> <p><b>1. Ćwiczenia</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>3,0 (dostateczny) – 2,50-3,48</li> <li>3,5 (dostateczny plus) – 3,49-3,98</li> <li>4,0 (dobry) – 3,99-4,48</li> <li>4,5 (dobry plus) – 4,49-4,75</li> <li>5,0 (bardzo dobry) – 4,76-5,0</li> </ul> <p><b>2. Seminarium</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>3,0 (dostateczny) – 2,50-3,48</li> <li>3,5 (dostateczny plus) – 3,49-3,98</li> <li>4,0 (dobry) – 3,99-4,48</li> <li>4,5 (dobry plus) – 4,49-4,75</li> <li>5,0 (bardzo dobry) – 4,76-5,0</li> </ul>

Efekty uczenia się dla przedmiotu w odniesieniu do efektów kierunkowych i formy zajęć <sup>7</sup>				Metody weryfikacji efektów uczenia się	
Numer efektu uczenia się	Opis efektów uczenia się dla przedmiotu (PEU) Student, który zaliczył przedmiot (W) zna i rozumie/ (U) potrafi /(K) jest gotów do:	Kierunkowy efekt uczenia się (KEU) i stopień osiągnięcia	Forma zajęć	Forma weryfikacji (zaliczeń)	Metody sprawdzania i oceny
<b>W1</b>	<i>Rozumie różnicę między wektorem, dawcą a biorcą oraz rozumie pojęcie rekombinowanego DNA. Rozróżnia pojęcie transformacji i transdukcji.</i>	<i>B.W14 ++</i>	<i>Ćwiczenia 1-2 Seminarium 1</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Identyfikacja wektora, dawcy i biorcy w przykładowych modyfikacjach genetycznych.</i>
<b>W2</b>	<i>Zna metody manipulacji genetycznych, przewiduje ich efekty i rozumie dane uzyskiwane w wyniku analiz molekularnych.</i>	<i>B.W29 ++</i>	<i>Ćwiczenia 1-5 Seminarium 1-9</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Dobór metody terapii genowej do określonej choroby, projekt doświadczenia..</i>
<b>W3</b>	<i>Zna najważniejsze odkrycia związane z terapią genową,</i>	<i>D.W21 +</i>	<i>Ćwiczenia 1-5 Seminarium 1-10</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Udział w dyskusji, opis metod oraz protokołów terapii genowej.</i>
<b>U1</b>	<i>Potrafi konstruować wektory do terapii genowej, przeprowadzać analizę miejsca insercji genu oraz analizę jego ekspresji.</i>	<i>B.U8 ++ B.U13</i>	<i>Ćwiczenia 1-4</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Protokół ćwiczeń, projekt wektora, odczyt RT-qPCR.</i>
<b>U2</b>	<i>Wykorzystuje Rejestr Badań Klinicznych prowadzonych przez EMA do wyszukiwania informacji o prowadzonych doświadczeniach związanych z terapią genową.</i>	<i>B.U10 ++</i>	<i>Seminarium 2-9</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Wnioski z wybranych badań klinicznych, metaanalizy.</i>
<b>U3</b>	<i>Wykorzystuje dane z rodowodów jako wskazanie do badań molekularnych i potrafi ocenić możliwości wykorzystania terapii genowej w leczeniu danej choroby.</i>	<i>C.U3 ++</i>	<i>Seminarium 2-9</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Analiza SWOT terapii genowych w leczeniu wybranych chorób.</i>
<b>U4</b>	<i>Potrafi przeprowadzić analizę wyników badań klinicznych oraz danych dotyczących stosowania metod terapii genowych i ich odbioru społecznego.</i>	<i>D.U17 +++</i>	<i>Seminarium 1-10</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Metaanalizy wykonane w trakcie zajęć.</i>
<b>K1</b>	<i>Starannie rozważa możliwości zastosowania terapii genowej biorąc pod uwagę ryzyko i stosunek pacjenta.</i>	<i>K.K1 ++</i>	<i>Seminarium 1-10</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Analiza SWOT terapii genowych, symulacja różnych zachowań pacjenta.</i>
<b>K2</b>	<i>Wyciąga wnioski z samodzielnie przeprowadzonych metaanaliz badań klinicznych.</i>	<i>K.K8 +++</i>	<i>Seminarium 1-10</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Metaanalizy wykonane w trakcie zajęć.</i>
<b>K3</b>	<i>Współpracuje w zespole, dzieli się wiedzą, potrafi precyzyjnie przedstawiać swoje stanowisko i dostosowywać przekaz do grupy współpracowników, a także uwzględniać ich uwagi.</i>	<i>K.K9 +++</i>	<i>Seminarium 1-10</i>	<i>Zaliczenie</i>	<i>Praca w Stolikach Eksperckich.</i>

## Literatura i pomoce naukowe

### Literatura podstawowa

Delhove J., Osenk I., Prichard I., Donnelley M. 2020. Public acceptability of gene therapy and gene editing for human use: a systematic review. *Gene Therapy* 31: 20-46. DOI: 10.1089/hum.2019.197

EMA [European Medicines Agency]. c1995-2022. EU clinical trial register. Amsterdam: European Medicines Agency. Dostęp: <https://clinicaltrials.eu>

Gupta R.M., Musunuru K. 2014. Expanding the genetic editing tool kit: ZFNs, TALENs, and CRISPR-Cas9. *The Journal of Clinical Investigation* 124: 61-71.

[NAS] National Academy of Sciences. 2017. Human genome editing: science, ethics and governance. Washington: National Academic Press. Dostęp: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/28796468/>

Rangel Goncalves G.A., de Melo Alves Paiva R. 2017. Gene therapy: advances, challenges and perspectives. *Einstein* 15:369-375. Dostęp: <https://www.einstein.br/artigo/gene-therapy-advances-challenges-and-perspectives>

Wirth T., Yla-Herttuala S. 2014. Gene therapy used in cancer treatment. *Biomedicines* 2: 149-162. doi:10.3390/biomedicines2020149

### Inne pomoce naukowe

Dostęp do laboratorium molekularnego

Dostęp do komputerów

## Nakład pracy studenta potrzebny do osiągnięcia zakładanych efektów uczenia się – bilans punktów ECTS

Udział w zajęciach, aktywność	Obciążenie studenta [h]	
	Praca własna studenta: zajęcia bez nauczyciela (ZBN)	Zajęcia dydaktyczne
Udział w ćwiczeniach	-	10 h
Udział w seminarium		20 h
Przygotowanie się do wykładów/ćwiczeń/seminariów/ Przygotowanie do zaliczenia/egzaminu	30 h	-
Sumaryczne obciążenie pracą studenta	30 h/ 1 ECTS	30 h/ 1,0 ECTS
Punkty ECTS za przedmiot	2 ECTS <sup>10</sup>	

## Informacje dodatkowe, uwagi

W przypadku studentów ze szczególnymi potrzebami, w tym: z niepełnosprawnością, przewlekłe chorych, określone powyżej (w karcie) metody i formy weryfikacji efektów uczenia się dostosowuje się odpowiednio do indywidualnych potrzeb tych studentów. Szczegółowe zasady i formy wsparcia studentów ze szczególnymi potrzebami: w tym z niepełnosprawnością, przewlekłe chorych podczas zajęć, zaliczeń i egzaminów określono w: Regulaminie Studiów, Zasadach Studiowania, Procedurze dotyczącej zapewnienia dostępności procesu kształcenia studentom ze szczególnymi potrzebami, w tym: z niepełnosprawnością, przewlekłe chorych.