

KARTA PRZEDMIOTU (SYLABUS)¹
OPIS PRZEDMIOTU

Kod przedmiotu		Nazwa przedmiotu	Terapie genowe i edycja genów	
0912/URad/WNMinNoZ/ST-NST/J2-11			Gene therapy and gene editing	
Język wykładowy		Polski		
Rok akademicki		2024/2025		
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 ²	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 ³	Nauki medyczne Nauki biologiczne		1 ECTS 1 ECTS
Forma nauczania ⁴		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**

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

<p>Metody dydaktyczne:⁶</p>	<p>1. Ćwiczenia</p> <ul style="list-style-type: none"> Eksperymenty polegające na projektowaniu i konstruowaniu wektorów, wykorzystaniu różnych metod transferu genów oraz analiza ekspresji transkryptomu Wykorzystanie narzędzi informatycznych do konstruowania wektorów oraz przewidywania efektów terapii genowej. Analiza SWOT w odniesieniu do stosowanych protokołów terapii genowych. <p>2. Seminarium</p> <ul style="list-style-type: none"> Analiza SWOT umożliwiająca ocenę efektywności oraz efektów terapii genowej oraz określająca strategię leczenia. Analiza przypadków zastosowań terapii genowych w leczeniu chorób, wyciąganie wniosków i porównanie z tradycyjnymi metodami leczenia. Metoda stolików eksperckich mająca na celu analizę danych z opublikowanych badań klinicznych dotyczących terapii genowej. Prezentacja prac zespołowych i podsumowanie uzyskanych wyników. <p>3. Praca samodzielna</p> <ul style="list-style-type: none"> Uzupełnienie protokołów ćwiczeń, jeżeli nie zostały wykonane w trakcie zajęć. Przygotowanie zagadnień do seminariów w postaci referatów, prezentacji lub streszczenia konkretnych prac.
<p>Wzrost zaliczenia, kryteria oceny osiągniętych efektów uczenia się:</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>1. Ćwiczenia</p> <p>W celu uzyskania oceny pozytywnej z ćwiczeń należy:</p> <ul style="list-style-type: none"> być obecnym na wszystkich ćwiczeniach (waga 10%); wypełnić i przedstawić protokół z ćwiczeń z opisem przebiegu ćwiczenia, wyników i wyciągniętych wniosków (waga 30%); samodzielnie zaplanować wektor wirusowy do terapii genowej (waga 30%); samodzielnie przeprowadzić analizę SWOT dla opublikowanych protokołów terapii genowej (waga 30%). <p>2. Seminarium</p> <p>W celu zaliczenia seminarium należy:</p> <ul style="list-style-type: none"> być obecnym na wszystkich seminariach (waga 10%); przedstawić analizę SWOT dla terapii genowej jako metody leczenia wybranej choroby (waga 25%); przygotowywać tezy do dyskusji w ramach stolików eksperckich na seminariach 2-9 (waga 40%). przedstawić metaanalizę dla społecznego odbioru terapii genowej (waga 25%) <p>3. Przedmiot kończy się zaliczeniem na ocenę</p>
<p>Sposób obliczania oceny końcowej:</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>1. Ćwiczenia</p> <ul style="list-style-type: none"> 3,0 (dostateczny) – 2,50-3,48 3,5 (dostateczny plus) – 3,49-3,98 4,0 (dobry) – 3,99-4,48 4,5 (dobry plus) – 4,49-4,75 5,0 (bardzo dobry) – 4,76-5,0 <p>2. Seminarium</p> <ul style="list-style-type: none"> 3,0 (dostateczny) – 2,50-3,48 3,5 (dostateczny plus) – 3,49-3,98 4,0 (dobry) – 3,99-4,48 4,5 (dobry plus) – 4,49-4,75 5,0 (bardzo dobry) – 4,76-5,0

Efekty uczenia się dla przedmiotu w odniesieniu do efektów kierunkowych i formy zajęć ⁷				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
W1	<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>
W2	<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>
W3	<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>
U1	<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>
U2	<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>
U3	<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>
U4	<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>
K1	<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>
K2	<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>
K3	<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 naukowe⁸

Literatura podstawowa

1. Delhove J., Osenk I., Prichard I., Donnelley M. 2020. Public acceptability of gene therapy and gene editing for human use: a systematic review. *Human Gene Therapy* 31: 20-46. DOI: 10.1089/hum.2019.197
2. EMA [European Medicines Agency]. c1995-2022. EU clinical trial register. Amsterdam: European Medicines Agency. Dostęp: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/>
3. Gupta R.M., Musunuru K. 2014. Expanding the genetic editing tool kit: ZFNs, TALENs, and CRISPR-Cas9. *The Journal of Clinical Investigation*. 124: 4154–61.
4. [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/>
5. Rangel Goncalves G.A., de Melo Alves Paiva R. 2017. Gene therapy: advances, challenges and perspectives. *Einstein* 15:369-375. Dostęp: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5823056/>
6. Wirth T., Yla-Hertuala S. 2014. Gene therapy used in cancer treatment. *Biomedicines* 2: 149-162. doi:10.3390/biomedicines2020149

Inne pomoce naukowe

1. Dostęp do laboratorium molekularnego
2. Dostęp do komputerów

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

Udział w zajęciach, aktywność	Obciążenie studenta [h]		
	Inne godz. Kontaktowe (IGK)	Praca własna studenta: zajęcia bez nauczyciela (ZBN)	Zajęcia dydaktyczne
Udział w ćwiczeniach	-	-	10 h
Udział w seminarium			20 h
Udział w konsultacjach	5 h	-	-
Przygotowanie się do wykładów/ćwiczeń/seminariów/ Przygotowanie do zaliczenia/egzaminu	-	25 h	-
Sumaryczne obciążenie pracą studenta	5 h/ 0,2 ECTS	25 h/ 0,8 ECTS	30 h/ 1,0 ECTS
Punkty ECTS za przedmiot	2 ECTS ¹⁰		

Informacje dodatkowe, uwagi

W przypadku studentów ze szczególnymi potrzebami, w tym: z niepełnosprawnością, przewlekle 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, przewlekle 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, przewlekle chorych.