

SYLABUS PRZEDMIOTU

1.	Nazwa przedmiotu w języku polskim oraz języku angielskim Terapie genowe Gene therapies
2.	Dyscyplina naukowa Nauki medyczne
3.	Język wykładowy Język polski
4.	Jednostka prowadząca przedmiot Wydział Biotechnologii
5.	Rodzaj przedmiotu obowiązkowy
6.	Kierunek studiów Biotechnologia (specjalność Technologie biomedyczne)
7.	Poziom studiów II stopień
8.	Rok studiów I rok
9.	Semestr semestr letni
10.	Forma zajęć i liczba godzin wykład, 15 godzin ćwiczenia laboratoryjne, 30 godzin
11.	Wymagania wstępne w zakresie wiedzy, umiejętności i kompetencji społecznych dla przedmiotu <ul style="list-style-type: none"> • znajomość podstawowych zasad bezpieczeństwa i higieny pracy w laboratorium; • znajomość specyfiki sterylnej pracy w laboratorium hodowli komórek zwierzęcych; • umiejętność przeprowadzenia podstawowych obliczeń biochemicznych; • znajomość podstawowych zagadnień z zakresu biologii komórki i biologii molekularnej; • umiejętność samodzielnego planowania eksperymentów;

	<ul style="list-style-type: none"> • umiejętność obsługi podstawowych urządzeń laboratoryjnych.
12.	<p>Cele kształcenia dla przedmiotu:</p> <p>wykład:</p> <ul style="list-style-type: none"> • przedstawienie podstawowych wiadomości na temat czym jest i czym może być terapia genowa. • wprowadzenie podstawowych pojęć i definicji oraz klasyfikacji i regulacji prawnych w EU i USA; • omówienie podstawowych strategii terapii genowej i stosowanych nośników; • omówienie typowych strategii terapeutycznych i mechanizmów terapeutycznych terapii genowych w zależności od docelowych tkanek, narządów lub typów choroby genetycznej; • problemy (w tym etyczne) i ograniczenia techniczne w stosowaniu terapii genowej; <p>ćwiczenia laboratoryjne:</p> <ul style="list-style-type: none"> • zapoznanie z metodami i strategiami stosowanymi w terapii genowej; • zapoznanie z metodami wprowadzania kwasów nukleinowych do komórek eukariotycznych - przeprowadzenie transfekcji komórek; • zapoznanie z metodami oznaczania efektywności dostarczania oraz działania leków genetycznych.
13.	<p>Treści programowe:</p> <p>wykład:</p> <ul style="list-style-type: none"> • terapia genowa - rys historyczny, definicje i charakterystyka przedmiotu wraz z podstawowymi pojęciami; • typy strategii terapii genowej oraz ich podział na grupy ze względu na zastosowane nośniki leków genetycznych; • charakterystyka i analiza typowych strategii terapeutycznych w zależności od typu choroby genetycznej i podłoża genetycznego (na przykładzie konkretnych chorób genetycznych człowieka z grupy chorób nerwowo-mięśniowych); • krytyczna analiza strategii terapeutycznych i problematyki terapii genowej (na przykładzie wybranych chorób genetycznych człowieka związanych z wadami metabolicznymi lub pojedynczymi mutacjami układu hematopoietycznego); • krytyczna analiza innowacyjnych strategii terapeutycznych i problemów technicznych związanych z terapią genową chorób wielogenowych (na przykładzie wybranych chorób nowotworowych człowieka); • charakterystyka typowych nośników leków genetycznych, w tym nie wirusowe i wirusowe oraz ich analiza przydatności do konkretnych strategii terapeutycznych; • krytyczna analiza nowych, eksperymentalnych terapii genowych stosowanych lub testowanych klinicznie;

	<ul style="list-style-type: none"> • analiza dostępnych komercyjnie strategii terapeutycznych na wybrane choroby genetyczne człowieka; • problemy i ograniczenia techniczne w stosowaniu terapii genowej; • potencjalne problemy etyczne stosowania terapii genowej. <p>ćwiczenia laboratoryjne:</p> <p>Ćwiczenia stawiają przed studentami wymogi zaplanowania części eksperymentów, samodzielnego przeprowadzenia doświadczeń oraz analizy interpretacji uzyskanych wyników.</p> <ul style="list-style-type: none"> • zaprojektowanie sekwencji małego interferującego RNA mogącego służyć jako lek genetyczny w terapii chorób monogenowych lub nowotworowych; • transfekcję komórek eukariotycznych, • zastosowanie fluorescencyjnej cytometrii przepływowej do oceny intensywności fluorescencji białka fuzyjnego nadprodukowanego w komórce. • analiza efektywności modyfikacji komórki - ocena poziomu nadprodukcji białka lub poziomu wyciszenia ekspresji genu. 	
14.	<p>Zakładane efekty uczenia się</p> <p>Student:</p> <ul style="list-style-type: none"> • ma pogłębioną i aktualną wiedzę z zakresu nauk medycznych o dostępnych terapiach genowych, zasadach ich działania oraz nowych rozwijanych strategiach takich terapii; • zna i rozumie zasady poprawnego interpretowania zjawisk biomedycznych, np. efektywności terapii genowej; • stosuje zaawansowane techniki biologii molekularnej i inżynierii genetycznej, tj, transfekcja komórek eukariotycznych, wyciszenie ekspresji genu, ocena efektywności modyfikacji genetycznej komórek; • krytycznie analizuje informacje pochodzące ze źródeł elektronicznych oraz dane eksperymentalne; • zna regulacje prawne oraz identyfikuje potencjalne problemy etyczne stosowania terapii genowych. 	<p>Symbole odpowiednich kierunkowych efektów uczenia się:</p> <p>K_W03, K_W05</p> <p>K_W02</p> <p>K_U01</p> <p>K_U03, K_U05</p> <p>K_K04</p>

15.	<p>Literatura obowiązkowa:</p> <ul style="list-style-type: none"> • materiały udostępnione przez prowadzących, w tym instrukcja do ćwiczeń laboratoryjnych <p>Literatura zalecana:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Templeton NS. (red.) Gene therapy – Therapeutic Mechanisms and Strategies, CRC Press. • Egli M., Manoharan M., Chemistry, structure and function of approved oligonucleotide therapeutics. Nucleic Acids Res. 2023 Apr 11;51(6):2529-2573. doi: 10.1093/nar/gkad067. 	
16.	<p>Metody weryfikacji zakładanych efektów uczenia się:</p> <p>wykład:</p> <ul style="list-style-type: none"> • egzamin pisemny (warunkiem przystąpienia do egzaminu jest uzyskanie oceny pozytywnej z ćwiczeń). <p>ćwiczenia laboratoryjne:</p> <ul style="list-style-type: none"> • ocena pracy i sposobu wykonywania doświadczeń podczas zajęć (zaliczenie praktyczne; obecność obowiązkowa), • zaliczenie pisemne. 	
17.	<p>Warunki i forma zaliczenia poszczególnych komponentów przedmiotu:</p> <ul style="list-style-type: none"> • pozytywne oceny z zaliczenia i egzaminu 	
	<p>Nakład pracy studenta wyrażony w godzinach zajęć oraz punktach ECTS</p>	<p>liczba godzin przeznaczona na zrealizowanie danego rodzaju zajęć</p>
	<p>zajęcia (wg planu studiów) z prowadzącym:</p> <ul style="list-style-type: none"> • wykład • ćwiczenia laboratoryjne 	<p>15 godzin 30 godzin</p>
	<p>praca własna studenta:</p> <ul style="list-style-type: none"> • przygotowanie do ćwiczeń • przygotowanie do zaliczenia ćwiczeń • czytanie wskazanej literatury • przygotowanie do egzaminu 	<p>50 godzin</p>
	<p>Łączna liczba godzin zajęć</p>	<p>95 godzin</p>
	<p>Liczba punktów ECTS :</p> <ul style="list-style-type: none"> • wykład • ćwiczenia laboratoryjne 	<p>2 ECTS 2 ECTS</p>