Karta przedmiotu

Informacje ogólne o przedmiocie	
1. Kierunek studiów: farmacja	**2. Poziom kształcenia:** jednolite studia magisterskie **3. Forma studiów:** stacjonarne i niestacjonarne
4. Rok: IV	**5. Semestr:** VII
6. Nazwa przedmiotu: Kwasy nukleinowe jako leki. Koncepcje terapii genowej	
7. Status przedmiotu: fakultatywny	
8. Jednostka realizująca przedmiot, adres, e-mail: Zakład Biotechnologii i Inżynierii Genetycznej, ul. Jedności 8, 41-200 Sosnowiec, tel. 32 364 1257 http://biotechnologia.sum.edu.pl	
9. Imię i nazwisko osoby odpowiedzialnej za realizację przedmiotu: Dr hab. n. med. Ilona Bednarek ibednarek@sum.edu.pl	
10. Założenia i cele kształcenia przedmiotu: W zakresie wiedzy: Poznanie metod terapeutycznych opartych o wykorzystanie kwasów nukleinowych: oligonukleotydów antysensowych, rybozymów, aptamerów, interferencyjnych cząsteczek RNA (RNAi). Zaznajomienie z podłożem molekularnym wybranych chorób oraz nowoczesnych metod ich leczenia w oparciu o protokoły terapii genowej; strategie wprowadzania kwasów nukleinowych w terapii do komórek ludzkich, komplementacja defektów genetycznych, celowana eliminacja komórek i metody korekty wadliwych genów. W zakresie umiejętności: umiejętność pracy z literaturą fachową – analiza wyników, prezentowanie i omawianie wyników badań	
11. Wymagania wstępne w zakresie wiedzy, umiejętności i innych kompetencji: Znajomość podstawowych procesów związanych z cyklem i podziałem komórkowym, klonowaniem genów, ekspresją informacji genetycznej w komórkach oraz podłożem chorób nabytych i genetycznie uwarunkowanych. Znajomość języka angielskiego w stopniu średniozaawansowanym	

12. Efekty kształcenia

Numer przedmiotowego efektu kształcenia	Przedmiotowe efekty kształcenia	Odniesienie do efektów kształcenia zawartych w standardach
P_W01	Student potrafi scharakteryzować mechanizmy podstawowych strategii terapii genowej. Znajomość metod wprowadzania materiału genetycznego do komórek eukariotycznych *in vitro* i organizmów *in vivo.*	A.W3, A.W13, A.W15, A.W16
P_W02	Student potrafi opisać mechanizmy molekularne oraz zastosowanie terapeutyczne oligonukleotydów antysensowych, rybozymów, aptamerów, interferencyjnych cząsteczek RNA (RNAi).	A.W3., A.W7, A.W8
P_W03	Student potrafi scharakteryzować podłoże molekularne i genetyczne wybranych chorób monogenowych: dystrofii Duchenne'a, hemofilii A i B, β-talasemii, ciężkiego złożonego niedoboru odporności typu SCID-ADA i SCID-X1, mukowiscydozy. Student potrafi podać przykład obecnie stosowanej terapii wspomnianych schorzeń oraz opisać wybrany schemat terapii genowej.	A.W3., A.W7, A.W8,
P_W04	Student potrafi scharakteryzować podłoże molekularne i genetyczne wybranych chorób nabytych: AIDS, choroba niedokrwienna serca, nadciśnienie tętnicze, choroba nowotworowa. Student potrafi podać przykład obecnie stosowanej terapii	A.W3., A.W7, A.W8,

	wspomnianych schorzeń oraz opisać wybrany schemat terapii genowej.	
P_U01	Student potrafi zaprojektować terapię opartą na wykorzystaniu terapeutycznych cząsteczek kwasów nukleinowych	A.U7, A.U12, B.U16, C.U38, F.U3, F.U6
P_K01	Student potrafi pracować w zespole, posiada nawyk korzystania z technologii informacyjnych do wyszukiwania i selekcjonowania informacji na temat terapii genowych oraz terapeutycznych kwasów nukleinowych	B.K1, B.K3,

13. Formy zajęć w odniesieniu do efektów kształcenia

Numer przedmiotowego efektu kształcenia	Forma zajęć dydaktycznych				
	wykład	seminarium	ćwiczenia	inne	e-learning
P_W01	X	x			X
P_W02	X	x			X
P_W03	X	x			X
P_W04	X	x			X
P_U01		x			
P_K01		x			

14. Treści programowe

14.1. Forma zajęć: Wykłady		**Liczba godzin**
W1 (w tym 2 godz. e-learning)	Wprowadzenie do zagadnień terapii genowej (komplementacja defektu, hamowanie ekspresji, korekta wadliwego genu, celowana eliminacja komórek, wprowadzenie dodatkowych genów)	5
W2 (w tym 2 godz. e-learning)	Wektory stosowane w terapii genowej	5
W3 (w tym 1 godz. e-learning)	Terapie genowe dystrofii mięśniowej Duchenne'a, hemofilii, ciężkiego niedoboru odporności, mukowiscydozy,	5
Łącznie		**15**
14.2. Forma zajęć: Seminaria		
S1	Metody wprowadzania materiału genetycznego do komórek *in vitro* i organizmów *in vivo.* Ograniczenia terapeutyczne	4
S2	Strategie potranskrypcyjnej regulacji ekspresji genów jako strategie terapeutyczne	4
S3	Oligonukleotydy antysensowe, rybozymy i aptamery jako leki nowej generacji	4
S4	Edycja genomu i zjawisko interferencji RNA - potencjalne wykorzystanie terapeutyczne	3
Łącznie		**15**
14.3. Forma zajęć: Ćwiczenia		
Łącznie		
Łączna liczba godzin z przedmiotu		**30**

15. Metody kształcenia

15.1. Wykład	Wykład konwersatoryjny
15.2. Seminaria	Prelekcja, dyskusja, prelekcje prowadzone przez studentów
15.3. Ćwiczenia	-
15.4. Inne	-
15.5. e-learning	Elektroniczne podręczniki, metody wykorzystujące sieć Internet

16. Sposoby weryfikacji efektów kształcenia i sposoby oceny		
Numer przedmiotowego efektu kształcenia	Sposoby weryfikacji	Warunki zaliczenia
PW_01 – PK_01	zaliczenie pisemne – testowe oraz z pytaniami/zadaniami otwartymi	wymagane >50% poprawnych odpowiedzi
PW_01 – PK_01	Przygotowanie i wygłoszenie prezentacji opisującej wyniki eksperymentalnych terapii genowych w oparciu o publikacje naukowe	Każdy uczestnik przygotowuje i wygłasza prezentację w grupie 2-3 osobowej

17. Obciążenie pracą studenta		
Forma aktywności	Przeciętna liczba godzin na zrealizowanie aktywności	
Godziny kontaktowe z nauczycielem akademickim:	udział w wykładach	10
	udział w seminariach	15
	udział w ćwiczeniach	0
	udział w innych formach kształcenia	0
	konsultacje	1
	łącznie	**26**
Samodzielna praca studenta	przygotowanie do seminariów	15
	przygotowanie do ćwiczeń	0
	przygotowanie do sprawdzianów	10
	e-learning	5
	przygotowanie do egzaminu/zaliczenia końcowego	0
	łącznie	**30**
Łącznie		**56**
Sumaryczna liczba punktów ECTS dla przedmiotu		**2**

18. Sumaryczne wskaźniki charakteryzujące przedmiot	
Liczba punktów ECTS, którą student uzyskuje na zajęciach wymagających bezpośredniego udziału nauczycieli akademickich	1
Liczba punktów ECTS, którą student uzyskuje za nakład pracy związany z zajęciami o charakterze praktycznym	0

19. Literatura

19.1. Podstawowa

1. Szala S. Terapia genowa, PWN 2003
2. Technologie biochemiczne. Wybrane technologie biofarmaceutyków i biokosmeceutyków. Pod red. I. Bednarek, D. Matczyńskiej i D. Sypniewskiego. Wydawnictwo SUM, Katowice 2016.
3. Bednarek I. Inżynieria genetyczna i terapia genowa. Zagadnienia podstawowe i aspekty praktyczne. ŚUM, Katowice 2008
4. Bednarek I. Wybrane zagadnienia naukowo-badawcze inżynierii genetycznej i terapii genowej. ŚUM, Katowice 2009

19.2. Uzupełniająca

1. Małecki M., Janik P. Terapia genowa w klinice. Współczesna Onkologia (2004) vol. 8; 3 (119–123)
2. Wilczyńska et al., Antyangiogenna terapia genowa Współczesna Onkologia (1999) 4; 139–142
3. Aleksandra Wesołowska Konferencja „Nowe metody w neurobiologii" 15 grudnia 2004 7−12 Wykorzystanie małych interferujących RNA do hamowania ekspresji genów w komórkach ssaków – zastosowanie w neurobiologii
4. Gabryelska M. et al. (2005) Interferencja RNA – nowa technologia w leczeniu nowotworów. Neuroskop nr 7, 27-38

20. Inne przydatne informacje o przedmiocie	
20.1. Liczebność grup	Zgodna z uchwałą Senatu SUM
20.2. Materiały do zajęć	rozpiski do seminariów umieszczane na stronie Zakładu: http://biotechnologia.sum.edu.pl (zakładka: studenci)

20.3. Miejsce odbywania się zajęć	ustalane przez Dziekanat
20.4. Miejsce i godzina konsultacji	Harmonogram umieszczony na stronie Zakładu: http://biotechnologia.sum.edu.pl (zakładka: studenci) Miejsce: pokój asystencki w Zakładzie
20.5. Inne	Bieżące ogłoszenia na stronie Zakładu: http://biotechnologia.sum.edu.pl (zakładka: studenci)

21. Formy oceny – szczegóły

Efekt	Na ocenę 2	Na ocenę 3	Na ocenę 4	Na ocenę 5
P_W01	Student nie potrafi wymienić podstawowych strategii terapii genowej, nie zna metod wprowadzania materiału genetycznego do komórek i organizmów	Potrafi wymienić rodzaje strategii terapii genowej i wyjaśnić zasadę działania jednej wybranej strategii, zna rodzaje metod wprowadzania materiału genetycznego do komórek i potrafi omówić jedną z nich	Potrafi wymienić rodzaje strategii terapii genowej i wyjaśnić zasadę działania każdej z nich, zna wszystkie rodzaje metod wprowadzania materiału genetycznego do komórek i organizmów i potrafi wyjaśnić ich zasady działania	Potrafi wymienić sposoby zwiększania skuteczności wnikania materiału genetycznego do komórek i jądra komórkowego, zna mechanizmy rządzące tymi zjawiskami, potrafi wyjaśnić różnice pomiędzy różnymi wektorami wirusowymi
P_W02	Student nie potrafi opisać podstawowych mechanizmów molekularnych działania oligonukleotydów antysensowych, rybozymów, aptamerów oraz RNAi	Student potrafi opisać mechanizm molekularny działania oligonukleotydów antysensowych lub rybozymów lub aptamerów oraz potrafi opisać zjawisko interferencji RNA	Student potrafi opisać mechanizmy molekularne działania oligonukleotydów antysensowych, rybozymów, aptamerów, RNAi oraz opisać ich potencjał terapeutyczny	Student potrafi opisać mechanizmy molekularne działania oligonukleotydów antysensowych, rybozymów, aptamerów, RNAi oraz opisać ich potencjał terapeutyczny, w tym wymienić preparaty w fazie badań i wprowadzone na rynek
P_W03	Student nie zna molekularnych podstaw chorób: dystrofii Duchenne'a, hemofilii A i B, β-talasemii, ciężkiego złożonego niedoboru odporności typu SCID-ADA i SCID-X1,	Potrafi wyjaśnić przyczynę wybranej choroby, wybrany schemat tradycyjnego leczenia oraz dowolny rodzaj terapii genowej będącej w fazie badań klinicznych	Potrafi wyjaśnić molekularne podstawy chorób, sposoby ich leczenia aktualnymi metodami oraz najskuteczniejsze metody terapii	Potrafi omówić molekularne podstawy chorób w tym najczęściej występujące w nich mutacje. Zna kilka testowanych metod terapii genowych o

	mukowiscydozy. Nie wie jak są obecnie leczone ani nie zna terapii genowych będących w trakcie badań klinicznych		genowej	największej skuteczności, potrafi wymienić działania niepożądane związane z ich stosowaniem
P_W04	Student nie zna molekularnych podstaw chorób: AIDS, choroba niedokrwienna serca, nadciśnienie tętnicze, choroba nowotworowa. Nie wie jak są obecnie leczone ani nie zna terapii genowych będących w trakcie badań klinicznych	Potrafi wyjaśnić przyczynę wybranej choroby, wybrany schemat tradycyjnego leczenia oraz dowolny rodzaj terapii genowej będącej w fazie badań klinicznych	Potrafi wyjaśnić molekularne podstawy chorób, sposoby ich leczenia aktualnymi metodami oraz najskuteczniejsze metody terapii genowej	Potrafi omówić molekularne podstawy chorób w tym elementy wykorzystywane w projektowaniu strategii terapii tradycyjnych i genowych. Zna kilka testowanych metod terapii genowych o największej skuteczności, potrafi wymienić działania niepożądane związane z ich stosowaniem
P_U01	Student nie potrafi zaprojektować terapii opartej na wykorzystaniu terapeutycznych cząsteczek kwasów nukleinowych	Student potrafi zaprojektować terapii opartej na wykorzystaniu terapeutycznych cząsteczek kwasów nukleinowych, przy znaczącej pomocy ze strony prowadzącego zajęcia	Student potrafi samodzielnie zaprojektować terapii opartej na wykorzystaniu terapeutycznych cząsteczek kwasów nukleinowych, przy niewielkiej pomocy ze strony prowadzącego zajęcia	Student potrafi samodzielnie zaprojektować terapii opartej na wykorzystaniu terapeutycznych cząsteczek kwasów nukleinowych
P_K01	Student nie posiada nawyku korzystania z technologii informacyjnych do wyszukiwania i selekcjonowania informacji na temat terapii genowych oraz terapeutycznych kwasów nukleinowych	Student korzysta z pomocą prowadzącego zajęcia z technologii informacyjnych do wyszukiwania i selekcjonowania informacji na temat terapii genowych oraz terapeutycznych kwasów nukleinowych	Student korzysta z niewielką pomocą prowadzącego zajęcia z technologii informacyjnych do wyszukiwania i selekcjonowania informacji na temat terapii genowych oraz terapeutycznych kwasów	Student sprawnie i samodzielnie korzysta z technologii informacyjnych do wyszukiwania i selekcjonowania informacji na temat terapii genowych oraz terapeutycznych kwasów nukleinowych

			nukleinowych	

* ocena celująca – wiedza i umiejętności dla wszystkich efektów kształcenia osiągają średnią punktację powyżej 98%.