АВТОНОМНАЯ НЕКОММЕРЧЕСКАЯ ОБРАЗОВАТЕЛЬНАЯ ОРГАНИЗАЦИЯ ВЫСШЕГО ОБРАЗОВАНИЯ "МЕДИЦИНСКИЙ УНИВЕРСИТЕТ МГИМО-МЕД"

«УТВЕРЖДАЮ»
Проректор МГИМО-МЕД



Е.Н. Гужвина
«02» апреля 2025 г.

Рабочая программа дисциплины
ПРИНЦИПЫ ГЕННОЙ, КЛЕТОЧНОЙ И МОЛЕКУЛЯРНОЙ ТЕРАПИИ

Направление подготовки
31.05.01 Лечебное дело

Форма обучения
очная

ДОКУМЕНТ ПОДПИСАН
ЭЛЕКТРОННОЙ ПОДПИСЬЮ

Сертификат: 04BC55A5008EB12C894442992EEA3F11EA
Владелец: Гужвина Елена Николаевна
Действителен: с 13.06.2024 до 13.06.2025

г.о. Одинцовский, д. Лапино – 2025

Рабочая программа дисциплины «Принципы генной, клеточной и молекулярной терапии» составлена в соответствии с требованиями Федерального государственного образовательного стандарта высшего образования (утвержден приказом Министерства науки и высшего образования 12 августа 2020 г. №988).

Автор программы: Садеки Нилаб Мохаммад Ясин, врач педиатр, младший научный сотрудник ЦКБ РАН.

СОДЕРЖАНИЕ

1. ПЕРЕЧЕНЬ ПЛАНИРУЕМЫХ РЕЗУЛЬТАТОВ ОБУЧЕНИЯ ПО ДИСЦИПЛИНЕ, СООТНЕСЕННЫХ С ПЛАНИРУЕМЫМИ РЕЗУЛЬТАТАМИ ОСВОЕНИЯ ОБРАЗОВАТЕЛЬНОЙ ПРОГРАММЫ. 4
2. МЕСТО ДИСЦИПЛИНЫ В СТРУКТУРЕ ОБРАЗОВАТЕЛЬНОЙ ПРОГРАММЫ 6
3. ОБЪЕМ ДИСЦИПЛИНЫ В ЗАЧЕТНЫХ ЕДИНИЦАХ С УКАЗАНИЕМ КОЛИЧЕСТВА АКАДЕМИЧЕСКИХ ЧАСОВ, ВЫДЕЛЕННЫХ НА КОНТАКТНУЮ РАБОТУ ОБУЧАЮЩИХСЯ С ПРЕПОДАВАТЕЛЕМ (ПО ВИДАМ ЗАНЯТИЙ) И НА САМОСТОЯТЕЛЬНУЮ РАБОТУ ОБУЧАЮЩИХСЯ 6
4. СОДЕРЖАНИЕ ДИСЦИПЛИНЫ, СТРУКТУРИРОВАННОЕ ПО ТЕМАМ (РАЗДЕЛАМ) С УКАЗАНИЕМ ОТВЕДЕННОГО НА НИХ КОЛИЧЕСТВА АКАДЕМИЧЕСКИХ ЧАСОВ И ВИДОВ УЧЕБНЫХ ЗАНЯТИЙ 7
4.1. Разделы дисциплины и трудоемкость по видам учебных занятий (в академических часах) 7
4.2. Содержание дисциплины, структурированное по разделам (темам) . 13
4.3. Содержание самостоятельной работы обучающихся 22
5. УЧЕБНО-МЕТОДИЧЕСКОЕ, ИНФОРМАЦИОННОЕ И МАТЕРИАЛЬНО-ТЕХНИЧЕСКОЕ ОБЕСПЕЧЕНИЕ ДИСЦИПЛИНЫ 24
5.1. Учебно-методическое и информационное обеспечение дисциплины 24
5.2. Материально-техническое обеспечение дисциплины 25
6. ФОНД ОЦЕНОЧНЫХ СРЕДСТВ ДЛЯ ПОДГОТОВКИ К ТЕКУЩЕМУ КОНТРОЛЮ И ПРОВЕДЕНИЯ ПРОМЕЖУТОЧНОЙ АТТЕСТАЦИИ ОБУЧАЮЩИХСЯ ПО ДИСЦИПЛИНЕ (ПРИМЕРЫ)* 25
6.1. Таблица критериев оценки форм текущего контроля успеваемости .. 25
6.2. Организация промежуточной аттестации обучающихся 31
6.3. Список вопросов для подготовки к текущему контролю по дисциплине Принципы генной, клеточной и молекулярной терапии 31
7. МЕТОДИЧЕСКИЕ УКАЗАНИЯ ДЛЯ ОБУЧАЮЩИХСЯ ПО ОСВОЕНИЮ ДИСЦИПЛИНЫ 32
8. ИНЫЕ СВЕДЕНИЯ И (ИЛИ) МАТЕРИАЛЫ 32
9. ЛИСТ РЕГИСТРАЦИИ ВНЕСЕННЫХ ИЗМЕНЕНИЙ 33

1. ПЕРЕЧЕНЬ ПЛАНИРУЕМЫХ РЕЗУЛЬТАТОВ ОБУЧЕНИЯ ПО ДИСЦИПЛИНЕ, СООТНЕСЕННЫХ С ПЛАНИРУЕМЫМИ РЕЗУЛЬТАТАМИ ОСВОЕНИЯ ОБРАЗОВАТЕЛЬНОЙ ПРОГРАММЫ

Цели изучения дисциплины: знакомство с наследственными заболеваниями и их молекулярно-генетической основой, современными, новыми способами терапии этих заболеваний. Освоение принципов и методологии экспериментальных подходов, используемых в генной и клеточной терапии. Приобретение знаний о применении этих способов терапии в лечебно-диагностической деятельности при лечении наследственных заболеваний человека.

Задачи изучения дисциплины:

● Освоение истории возникновения генной терапии, пути развития и современные подходы, как нового направления медицинской биотехнологии.

● сформировать у обучающегося понимание предмета генной и клеточной терапии, целей и задач дисциплины, сформировать систему знаний наследственных заболеваний человека, патологии на уровне генома и методов;

● Освоение принципов возникновения, развития наследственных заболеваний человека и основных подходов их лечения с помощью генной терапии.

● сформировать навык анализа и оценки основных, наиболее часто встречающихся генетических патологии, позволяющие анализировать текущее состояние пациента и ассоциированных патофизиологических принципов возникновения симптомов болезни и применить к ним подюор и возможность проведения генной и клеточной терапии;

● развить знания, умения и навыки способов выделения и идентификации генов, вызывающих наследственные заболевания человека и освоить методы введения генов в клетки человека и животных (in vivo, in vitro, ex vivo и in situ).

● сформировать навыки изучения и критического анализа научной литературы.

Процесс изучения дисциплины Принципы генной, клеточной и молекулярной терапии направлен на формирование и развитие следующих компетенций:

Коды компетенции	***Содержание компетенций***	***Индикаторы достижения компетенций***	***Перечень планируемых результатов обучения по дисциплине (в соответствии с профессиональными***

			стандартами (при наличии)
ПК-2	Способен к проведению обследования пациента с целью установления диагноза	ИПК-2.4. Способен направить пациента на консультацию к врачам-специалистам при наличии медицинских показаний в соответствии с действующими порядками оказания медицинской помощи, клиническими рекомендациями (протоколами лечения) по вопросам оказания медицинской помощи с учетом стандартов медицинской помощи.	**Знать:** порядки оказания медицинской помощи, клинические рекомендации (протоколы лечения) по вопросам оказания медицинской помощи, стандарты медицинской помощи; этиологию, патогенез и патоморфологию, клиническую картину, заболеваний внутренних органов, их дифференциальную диагностику **Уметь:** выявить и оценить показания к направлению пациента на консультации к врачам-специалистам; обосновать необходимость направления пациента на консультации к врачам-специалистам; интерпретировать данные, полученные при консультациях пациента врачами-специалистами **Владеть:** навыком обоснования и направления пациента на консультации к врачам-специалистам соответствии с клиническими рекомендациями с учетом стандартов медицинской

			помощи

2. МЕСТО ДИСЦИПЛИНЫ В СТРУКТУРЕ ОБРАЗОВАТЕЛЬНОЙ ПРОГРАММЫ

Дисциплина относится к части, формируемой участниками образовательных отношений.

Изучение дисциплины ***основано на знаниях***, полученных обучаемыми при изучении дисциплин Философия, Медицинская физика, Общая химия. Физическая и коллоидная химия, Биология, Гистология, эмбриология, цитология, Введение в медицинскую генетику, Медицинское право России и зарубежных стран, Высшая математика, Клеточная и молекулярная биология, Биологическая химия и метаболизм, Нормальная анатомия человека, Нормальная физиология, Клеточная и молекулярная иммунология, Биоэтика, Иностранный язык, Патологическая физиология, Фармакология

Умения и навыки, полученные в ходе изучения дисциплины необходимы ***для освоения*** учебного материала таких дисциплин образовательной программы как: Акушерство и гинекология, Педиатрия, Общественное здоровье и здравоохранение, Клиническая фармакология, Госпитальная терапия с курсом эндокринологии, Поликлиническая терапия

Дисциплина изучается на 4 курсе в 8 семестре (в соответствии с учебным планом).

3. ОБЪЕМ ДИСЦИПЛИНЫ В ЗАЧЕТНЫХ ЕДИНИЦАХ С УКАЗАНИЕМ КОЛИЧЕСТВА АКАДЕМИЧЕСКИХ ЧАСОВ, ВЫДЕЛЕННЫХ НА КОНТАКТНУЮ РАБОТУ ОБУЧАЮЩИХСЯ С ПРЕПОДАВАТЕЛЕМ (ПО ВИДАМ ЗАНЯТИЙ) И НА САМОСТОЯТЕЛЬНУЮ РАБОТУ ОБУЧАЮЩИХСЯ

Общая трудоемкость (объем) дисциплины составляет 2 зачетных единицы, 72 академических часа.

Объём дисциплины по видам учебных занятий (в часах)

Вид учебной работы	**Всего часов**	**Семестры**
		8
Аудиторные занятия, в т.ч.	**36**	**36**
Лекции	6	6

Практические занятия		30	30
Самостоятельная работа обучающегося (подготовка к занятиям, текущему и промежуточному контролю)		**36**	**36**
Вид промежуточной аттестации: экзамен (Э), зачет (З)		**-**	**(З)**
Итого общая трудоемкость	**часов**	**72**	**72**
	з.е.	**2**	**2**

4. СОДЕРЖАНИЕ ДИСЦИПЛИНЫ, СТРУКТУРИРОВАННОЕ ПО ТЕМАМ (РАЗДЕЛАМ) С УКАЗАНИЕМ ОТВЕДЕННОГО НА НИХ КОЛИЧЕСТВА АКАДЕМИЧЕСКИХ ЧАСОВ И ВИДОВ УЧЕБНЫХ ЗАНЯТИЙ

4.1. Разделы дисциплины и трудоемкость по видам учебных занятий (в академических часах)

СЕМЕСТР 8

№	Вид занятий	Тема занятия	Кол-во часов	Всего	Формы контроля*
РАЗДЕЛ 1: Общие вопросы генной, клеточной и молекулярной терапии.					
1.	Лекция	Введение. Предмет и задачи дисциплины. Общие вопросы предмета, различие между генной и клеточной терапии.	1	6	Присутствие
2.	Практическое занятие	Предмет и задачи дисциплины. Определение генной терапии и клеточной терапии, разницы между подходами. Роль предметов генетики и молекулярной биологии в становлении и развитии генной терапии. Основы регуляции генов, различные типы вирусных векторов, невирусные методы доставки,	5		Присутствие, комбинированный опрос.

		молекулярный контроль дифференцировки стволовых клеток. Основные молекулярные механизмы, принципы и методология генной и клеточной терапии. Этические вопросы клеточной и генной терапии.			
3.	Лекция	Общие вопросы генной и клеточной терапии. Методы, подходы и материалы. Основы регуляции генов, различные типы вирусных векторов, невирусные методы доставки, иммунные ответы. Этические вопросы клеточной и генной терапии.	1	6	Присутствие
4.	Практическое занятие	Общие вопросы генной и клеточной терапии. Основные подходы переноса генов в клетки человека и животных. Безвекторный перенос генов, трансформация и трансфекция, перенос генов в клетки человека и животных с помощью вирусных векторов, типы вирусных векторов. Векторы на основе аденовирусов и аденоассоциированных вирусов. Использование герпесвирусов и лентивирусов. Основные	5		Присутствие, комбинированный опрос.

		приемы амплификации генов, используемые в генной терапии. Стратегии клеточной терапии. Типы клеток, используемые в клеточной терапии.			
5.	Лекция	Другие современные подходы в терапии наследственных заболеваний и инфекционных заболеваний. Лабораторные разработки и клинические испытания. Типы модельных систем. Системы CRISPR-Cas для направленного редактирования геномов.	1	6	Присутствие
6.	Практическое занятие	Другие современные подходы в терапии наследственных заболеваний и инфекционных заболеваний: таргетная терапия, использование малых молекул, субстрат-редуцирующая терапия, шапероны. Клинические и молекулярные геномные методы для понимания генетической и молекулярной основы наследственных заболеваний. Моногенные, полигенные и	5		Присутствие, комбинированный опрос.

		инфекционные заболевания. Лабораторные разработки и клинические испытания. Основные технологии диагностики. Подходы терапии наследственных заболеваний с помощью генной терапии, с помощью клеточной терапии. Типы модельных систем in vivo, in vitro, ex vivo и in situ, доступные для исследования. Системы CRISPR-Cas для направленного редактирования геномов.			
РАЗДЕЛ 2: Частные вопросы генной, клеточной и молекулярной терапии.					
7.	Лекция	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Персонализированная медицина. Разбор доступных клинических методов.	1	6	Присутствие
8.	Практическое занятие	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Персонализированная медицина. Основные принципы. Влияние на способ оказания медицинской помощи. Разработка новых персонализированных диагностических тестов. Разработка новых, более точно нацеленных методов лечения. Разбор доступных клинических методов.	5		Присутствие, комбинированный опрос.

9.	Лекция	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Химерный антигенный рецептор (CAR) Т-клеток. Иммунология и иммунотерапия рака.	1	6	Присутствие
10.	Практическое занятие	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Передовые концепции клеточной иммунотерапии рака и других иммунных заболеваний. Химерный антигенный рецептор (CAR) Т-клеток. Иммунология и иммунотерапия рака.	5		Присутствие, комбинированный опрос.
11.	Лекция	Частные вопросы генной и клеточной терапии наследственных орфанных болезней, лизосомные болезни накопления. Генная терапия, терапия малыми молекулами, клеточная терапия.	1	6	Присутствие
12.	Практическое занятие	Частные вопросы генной и клеточной терапии наследственных орфанных болезней, лизосомные болезни накопления. Патофизиология, классификация, современные методы и подходы к терапии. Текущие исследования и достижения в моделировании болезней, их генетическое управление и новые или планируемые в будущем генетические методы лечения.	5		Присутствие, комбинированный опрос.

		Организация службы клинической генетики.			
Всего часов за семестр:			**36**		-

***Таблица существующих форм текущего контроля успеваемости и промежуточной аттестации обучающихся**

Форма текущего контроля либо промежуточной аттестации	**Вид работы обучающегося**
Контроль присутствия	Присутствие или отсутствие обучающегося на занятии
Устный опрос	Устные ответы обучающегося на устные вопросы преподавателя
Письменная работа	Развернутый письменный ответ обучающегося на заданный вопрос за установленный промежуток времени
Тестирование	Тестирование в анкетной или электронной форме
Комбинированный опрос	Сочетание элементов предыдущих форм контроля в произвольной форме
Решение клинической (ситуационной) задачи	Устное либо письменное задание, направленное на разбор конкретного клинического случая
Проверка практических навыков	Демонстрация обучающимся навыков владения практическими манипуляциями, относящимися к изучаемой дисциплине
Отчет о состоянии пациента	Устный доклад обучающегося о состоянии пациента, результатах диагностических мероприятий, проводимом лечении и клинической

	динамике
Написание учебной истории болезни	Подготовка учебной истории болезни в письменном виде в соответствии с утвержденной схемой истории болезни
Зачет	
Экзамен	
Защита курсовой работы	

4.2. Содержание дисциплины, структурированное по разделам (темам)

№	Шифр компетенции	Вид занятий	Наименование раздела, темы дисциплины	Содержание раздела и темы в дидактических единицах
1	**2**	**3**	**4**	**5**
СЕМЕСТР 8				
РАЗДЕЛ 1: Общие вопросы генной, клеточной и молекулярной терапии.				
1.	ИПК-2.4	Лекция:	Введение. Предмет и задачи дисциплины. Общие вопросы предмета, различие между генной и клеточной терапии.	Введение. Предмет и задачи дисциплины. Общие вопросы предмета, различие между генной и клеточной терапии.
	ИПК-2.4	Практическое занятие:	Предмет и задачи дисциплины. Определение генной терапии и клеточной терапии, разницы между подходами. Роль предметов генетики и	Предмет и задачи дисциплины. История возникновения генной терапии и клеточной терапии как нового направления медицинской биотехнологии. Определение генной терапии и клеточной терапии, разницы между подходами. Роль предметов генетики и молекулярной биологии в

			молекулярной биологии в становлении и развитии генной терапии. Основы регуляции генов, различные типы вирусных векторов, невирусные методы доставки, молекулярный контроль дифференцировк и стволовых клеток. Основные молекулярные механизмы, принципы и методология генной и клеточной терапии. Этические вопросы клеточной и генной терапии.	становлении и развитии генной терапии. Основы регуляции генов, различные типы вирусных векторов, невирусные методы доставки, производство векторов, инсерционный мутагенез и исследование безопасности, молекулярный контроль дифференцировки стволовых клеток. Основные молекулярные механизмы, принципы и методология генной и клеточной терапии, редактирование генов, иммунные ответы. Успехи генной и клеточной терапии на примерах заболевания и перспективы развития. Области применения генной терапии, обзор проводимых исследований через сайт clinicaltrails.gov. Этические вопросы клеточной и генной терапии.
2.	ИПК-2.4	Лекция:	Общие вопросы генной и клеточной терапии. Методы, подходы и материалы. Основы регуляции генов,	Общие вопросы генной и клеточной терапии. Методы, подходы и материалы используемые в генной и клеточной терапии. Основы регуляции генов, различные типы вирусных векторов, невирусные методы доставки, производство

			различные типы вирусных векторов, невирусные методы доставки, иммунные ответы. Этические вопросы клеточной и генной терапии.	векторов, клеточная терапия и тканевая инженерия, редактирование генов, иммунные ответы. Этические вопросы клеточной и генной терапии.
3.	ИПК-2.4	Практическое занятие:	Общие вопросы генной и клеточной терапии. Основные подходы переноса генов в клетки человека и животных. Безвекторный перенос генов, трансформация и трансфекция, перенос генов в клетки человека и животных с помощью вирусных векторов, типы вирусных векторов. Векторы на основе аденовирусов и аденоассоциированных вирусов. Использование	Общие вопросы генной и клеточной терапии. Основные подходы переноса генов в клетки человека и животных. Безвекторный перенос генов, трансформация и трансфекция, ДЭАЭ-декстрановый метод, гипертонический солевой метод, метод Ca2+-претипитации, микроинъекция ДНК, электропорация, «генные пистолеты», перенос ДНК с помощью липосом, перенос комплексов ДНК-белок-аденовирусный белок и т. д. Особенности использования каждого их этих методов. Перенос генов в клетки человека и животных с помощью вирусных векторов, типы вирусных векторов, их используемых в генной терапии. Область применения и эффективность

			герпесвирусов и лентивирусов. Основные приемы амплификации генов, используемые в генной терапии. Стратегии клеточной терапии. Типы клеток, используемые в клеточной терапии.	ретровирусных векторов. Векторы на основе аденовирусов и особенности их использования. Векторы на основе аденоассоциированных вирусов. Использование герпесвирусов и лентивирусов для переноса генов в клетки человека. Проблема стабильности гибридных ДНК в клетках человека и животных. Основные приемы амплификации генов, используемые в генной терапии. Стратегии клеточной терапии: аллогенный, аутологичный, ксеногенный, эмбриональные стволовые клетки человека, терапия нервными стволовыми клетками, терапия мезенхимальными стволовыми клетками, трансплантация гемопоэтических стволовых клеток, трансплантация дифференцированных или зрелых клеток. Типы клеток, используемые в клеточной терапии.
4.	ИПК-2.4	Лекция:	Другие современные подходы в терапии наследственных заболеваний и	Другие современные подходы в терапии наследственных заболеваний и инфекционных заболеваний. Лабораторные разработки и клинические испытания.

			инфекционных заболеваний. Лабораторные разработки и клинические испытания. Типы модельных систем.	Типы модельных систем in vivo, in vitro, ex vivo и in situ, доступные для исследования. Системы CRISPR-Cas для направленного редактирования геномов.
5.	ИПК-2.4	Практическое занятие:	Другие современные подходы в терапии наследственных заболеваний и инфекционных заболеваний: таргетная терапия, использование малых молекул, субстрат-редуцирующая терапия, шапероны. Клинические и молекулярные геномные методы для понимания генетической и молекулярной основы наследственных заболеваний. Моногенные, полигенные и инфекционные заболевания.	Знакомство с другими видами молекулярной терапии, таргетная терапия, использование малых молекул, субстрат-редуцирующая терапия, шапероны. Использование клинических и молекулярных геномных методов для понимания генетической и молекулярной основы наследственных заболеваний, особенно редких детских болезней, с целью разработки более эффективных методов лечения и ведения заболеваний. Моногенные, полигенные и инфекционные заболевания. Разбор и повторение функции ДНК, хромосом, паттернов наследования болезней и текущих методологиях скрининга и выявления генетических дефектов. Лабораторные разработки и клинические испытания. Основные технологии секвенирование следующего

			Лабораторные разработки и клинические испытания. Основные технологии диагностики. Подходы терапии наследственных заболеваний с помощью генной терапии, с помощью клеточной терапии. Типы модельных систем in vivo, in vitro, ex vivo и in situ, доступные для исследования	поколения, цитогенетики, молекулярной и пренатальной диагностики, инструменты молекулярно-генетических и геномных исследований и подходы к генетической и клеточной терапии. Подходы терапии наследственных заболеваний с помощью генной терапии, с помощью клеточной терапии. Типы модельных систем in vivo, in vitro, ex vivo и in situ, доступные для исследования. Системы CRISPR-Cas для направленного редактирования геномов.
РАЗДЕЛ 2: Частные вопросы генной, клеточной и молекулярной терапии				
6.	ИПК-2.4	Лекция:	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Персонализированная медицина. Разбор доступных клинических методов.	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Персонализированная медицина - новое поколение медицинских услуг. Влияние на способ оказания медицинской помощи. Использование генетического и многомерного профиля человека - определение решения о профилактике, диагностике и лечении его заболеваний в будущем. Разбор доступных клинических методов.

7.	ИПК-2.4	Практическое занятие:	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Персонализированная медицина. Основные принципы. Влияние на способ оказания медицинской помощи. Разработка новых персонализированных диагностических тестов. Разработка новых, более точно нацеленных методов лечения. Разбор доступных клинических методов.	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Персонализированная медицина - новое поколение медицинских услуг. Основные принципы персонализированной медицины. Влияние на способ оказания медицинской помощи. Разработка новых персонализированных диагностических тестов и расширение использования биомаркеров, адаптированных к индивидуальным особенностям человека для распознавания молекулярной причины заболевания. Использование генетического и многомерного профиля человека - определение решения о профилактике, диагностике и лечении его заболеваний в будущем. Разработка новых, более точно нацеленных методов лечения. Путь от использования технологий multi-omics для обнаружения биомаркеров и стратификации пациентов для клинических испытаний до использования фармакогенетики для персонализированного использования лекарств. Разбор доступных клинических методов.

8.	ИПК-2.4	Лекция:	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Химерный антигенный рецептор (CAR) Т-клеток. Иммунология и иммунотерапия рака.	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Концепции клеточной иммунотерапии рака и других иммунных заболеваний. Химерный антигенный рецептор (CAR) Т-клеток. Иммунология и иммунотерапия рака.
9.	ИПК-2.4	Практическое занятие:	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Передовые концепции клеточной иммунотерапии рака и других иммунных заболеваний. Химерный антигенный рецептор (CAR) Т-клеток. Иммунология и иммунотерапия рака.	Частные вопросы генной и клеточной терапии. Передовые концепции клеточной иммунотерапии рака и других иммунных заболеваний (на примере аутоиммунных заболеваний), от идентификации целей и биологии для клеточной инженерии до их доклинической разработки и клинического воплощения идей. Химерный антигенный рецептор (CAR) Т-клеток, стратегии для снижения токсичности и предотвращения ухода от терапии. Иммунология и иммунотерапия рака. Обзор моноклональных антител, ингибиторов контрольных точек иммунного ответа (mmune checkpoint inhibitors), онколитических вирусов и клеточной терапии, включая CAR Т-клетки.
10.	ИПК-2.4	Лекция:	Частные вопросы генной и	Частные вопросы генной и клеточной терапии.

			клеточной терапии наследственных орфанных болезней, лизосомные болезни накопления. Генная терапия, терапия малыми молекулами, клеточная терапия.	наследственных орфанных болезней, лизосомные болезни накопления. Генная терапия, терапия малыми молекулами, клеточная терапия.
11	ИПК-2.4	Практическое занятие:	Частные вопросы генной и клеточной терапии наследственных орфанных болезней, лизосомные болезни накопления. Патофизиология, классификация, современные методы и подходы к терапии. Текущие исследования и достижения в моделировании болезней, их генетическое управление и новые или планируемые в будущем	Частные вопросы генной и клеточной терапии наследственных орфанных болезней, лизосомные болезни накопления. Патофизиология лихосомных болезней накопления, классификация, современные методы и подходы к терапии. Текущие исследования и достижения в моделировании болезней, их генетическое управление и новые или планируемые в будущем генетические методы лечения. Организация службы клинической генетики.

			генетические методы лечения. Организация службы клинической генетики.	

4.3. Содержание самостоятельной работы обучающихся

№	Наименование раздела, темы дисциплины	Содержание самостоятельной работы обучающихся	Всего часов	Литература
СЕМЕСТР 8			**36**	
1.	**РАЗДЕЛ 1: Общие вопросы генной, клеточной и молекулярной терапии.**	Подготовка к клиническим практическим занятиям. Проработка теоретического материала раздела. Подготовка к текущему контролю.	18	Борисова, Т. Н. Медицинская генетика : учебное пособие для вузов / Т. Н. Борисова, Г. И. Чуваков. — 2-е изд., испр. и доп. — Москва : Издательство Юрайт, 2017. — 182 с. — (Высшее образование). — ISBN 978-5-9916-4920-9. — Текст : электронный // Образовательная платформа Юрайт [сайт]. — URL: https://urait.ru/bcode/398610 Алферова, Г. А. Генетика : учебник для вузов / под редакцией Г. А. Алферовой. — 3-е

				изд., испр. и доп. — Москва : Издательство Юрайт, 2020. — 200 с. — (Высшее образование). — ISBN 978-5-534-07420-8. — Текст : электронный // Образовательная платформа Юрайт [сайт]. — URL: https://urait.ru/bcode/451733
2.	**РАЗДЕЛ 2: Частные вопросы генной, клеточной и молекулярной терапии.**	Подготовка к клиническим практическим занятиям. Проработка теоретического материала раздела. Подготовка к текущему контролю.	18	Борисова, Т. Н. Медицинская генетика : учебное пособие для вузов / Т. Н. Борисова, Г. И. Чуваков. — 2-е изд., испр. и доп. — Москва : Издательство Юрайт, 2017. — 182 с. — (Высшее образование). — ISBN 978-5-9916-4920-9. — Текст : электронный // Образовательная платформа Юрайт [сайт]. — URL: https://urait.ru/bcode/398610 Алферова, Г. А. Генетика : учебник для вузов / под редакцией Г. А. Алферовой. — 3-е изд., испр. и доп. — Москва : Издательство Юрайт, 2020. —

				200 с. — (Высшее образование). — ISBN 978-5-534-07420-8. — Текст : электронный // Образовательная платформа Юрайт [сайт]. — URL: https://urait.ru/bcode/451733
ИТОГО ПО ДИСЦИПЛИНЕ			**36**	

5. УЧЕБНО-МЕТОДИЧЕСКОЕ, ИНФОРМАЦИОННОЕ И МАТЕРИАЛЬНО-ТЕХНИЧЕСКОЕ ОБЕСПЕЧЕНИЕ ДИСЦИПЛИНЫ

5.1. Учебно-методическое и информационное обеспечение дисциплины

а) основная учебная литература:

- Борисова, Т. Н. Медицинская генетика : учебное пособие для вузов / Т. Н. Борисова, Г. И. Чуваков. — 2-е изд., испр. и доп. — Москва : Издательство Юрайт, 2017. — 182 с. — (Высшее образование). — ISBN 978-5-9916-4920-9. — Текст : электронный // Образовательная платформа Юрайт [сайт]. — URL: https://urait.ru/bcode/398610

б) дополнительная литература:

- Алферова, Г. А. Генетика : учебник для вузов / под редакцией Г. А. Алферовой. — 3-е изд., испр. и доп. — Москва : Издательство Юрайт, 2020. — 200 с. — (Высшее образование). — ISBN 978-5-534-07420-8. — Текст : электронный // Образовательная платформа Юрайт [сайт]. — URL: https://urait.ru/bcode/451733

в) литература для факультативного чтения:

- Cavazzana M et al., (2019) Gene therapy targeting haematopoietic stem cells for inherited diseases: progress and challenges. Nature reviews Drug Discovery 18:447-462
- Doetschman T, Georgieva T. Gene Editing With CRISPR/Cas9 RNA-Directed Nuclease. Circ Res. 2017;120:876-94.
- Naldini L. Genetic engineering of hematopoiesis: current stage of clinical translation and future perspectives. EMBO Mol Med. 2019;11.
- Park SE, Georgescu A, Huh D. Organoids-on-a-chip. Science. 2019;364:960-5.

г) интернет-ресурсы и базы данных:

- EMBO Molecular medicine https://www.embopress.org/journal/17574684

- MDPI Cells https://www.mdpi.com/journal/cells

5.2. Материально-техническое обеспечение дисциплины

Занятия, предусмотренные рабочей программой дисциплины, проводятся:

- в учебной аудитории для проведения занятий всех видов, в том числе групповых и индивидуальных консультаций, текущего контроля и промежуточной аттестации, расположенной по адресу: 143081 Московская область, г.о. Одинцовский, д. Лапино, д. 111 пом.87 (5 этаж).

Технические средства обучения:
Экран-телевизор-1шт. со встроенным системным блоком и комплектом аудио колонок для воспроизведения аудио файла.
Специализированная мебель:
Стол -1шт.
Стулья студенческие -15 шт.
Перечень лицензионного программного обеспечения:
1) Microsoft Office 2016, Windows 10 LTSC
2) Справочная информационная система «Консультант +»
3) Антивирусная защита Kaspersky V 11.8.0.384

Самостоятельная работа студентов проходит в помещении для самостоятельной работы по адресу: 143081 Московская область, г.о. Одинцовский, д. Лапино, д. 111/1 пом. 192 (-1 этаж).

Технические средства обучения:
Экран-телевизор-1шт. со встроенным системным блоком и комплектом аудио колонок для воспроизведения аудио файла.
Специализированная мебель:
Стол -1шт.
Стулья студенческие -15 шт.
Перечень лицензионного программного обеспечения:
1) Microsoft Office 2016, Windows 10 LTSC
2) Справочная информационная система «Консультант +»
3) Антивирусная защита Kaspersky V 11.8.0.384

6. ФОНД ОЦЕНОЧНЫХ СРЕДСТВ ДЛЯ ПОДГОТОВКИ К ТЕКУЩЕМУ КОНТРОЛЮ И ПРОВЕДЕНИЯ ПРОМЕЖУТОЧНОЙ АТТЕСТАЦИИ ОБУЧАЮЩИХСЯ ПО ДИСЦИПЛИНЕ (ПРИМЕРЫ)*

6.1. Таблица критериев оценки форм текущего контроля успеваемости

Вид работы	Оценка / Процент	Описание критериев оценки

УСТНЫЙ ОПРОС, ПИСЬМЕННАЯ РАБОТА, КОМБИНИРОВАННЫЙ ОПРОС	A (90-100%)	Самостоятельное и оригинальное осмысление материала; ясное и убедительное рассуждение; мощный и убедительный анализ.
	B (82-89%)	Четкость логики и анализа, некоторая оригинальность в осмыслении материала, в целом работа хорошо аргументирована и убедительна.
	C (75-81%)	Удовлетворительные построение и анализ при отсутствии оригинальности или критического осмысления материала.
	D (67-74%)	Логика слабая, оригинальность отсутствует и/или материал недостаточно критически осмыслен.
	E (60-66%)	Логика крайне слабая, отсутствует или неадекватна выбранной теме.
	F (менее 60%)	Обучающийся дает неверный ответ на поставленный вопрос, логика и аргументация отсутствуют, либо крайне слабые.
ТЕСТИРОВАНИЕ	A (90-100%)	90-100% Правильных ответов
	B (82-89%)	82-89% Правильных ответов
	C (75-81%)	75-81% Правильных ответов
	D (67-74%)	67-74% Правильных ответов
	E (60-66%)	60-66% Правильных ответов
	F (менее 60%)	Менее 60% правильных ответов
РЕШЕНИЕ КЛИНИЧЕСКОЙ (СИТУАЦИОННОЙ) ЗАДАЧИ	A (90-100%)	Постановка правильного предварительного диагноза при последовательном и аргументированном изложении доводов в его пользу, четкости и однозначности в выводах. Владение профессиональным языком и терминологией.
	B (82-89%)	Постановка правильного

		предварительного диагноза при последовательном и аргументированном изложении доводов с отдельными и незначительными ошибками, четкости и однозначности в выводах. Владение профессиональным языком и терминологией.
	C (75-81%)	Постановка правильного предварительного диагноза при наличии удовлетворительных аргументов в его пользу, сомнения в выводах. Удовлетворительное владение профессиональным языком и терминологией.
	D (67-74%)	Постановка правильного предварительного диагноза со слабым логическим обоснованием и аргументацией, неполное решение клинической задачи. Удовлетворительное владение профессиональным языком и терминологией.
	E (60-66%)	Постановка правильного предварительного диагноза со слабым обоснованием и аргументацией, неполное решение клинической задачи. Слабое владение профессиональным языком и терминологией.
	F (менее 60%)	Постановка неправильного предварительного диагноза, отсутствие решения клинической задачи. Ошибочные аргументация и обоснование.
ПРАКТИЧЕСКИЕ НАВЫКИ	A (90-100%)	Проявлено абсолютно уместное и точное применение широкого спектра практических навыков, предусмотренных данным курсом и заданием.
	B (82-89%)	Проявлено владение достаточно

		широким спектром соответствующих практических навыков, допущены отдельные ошибки.
	C (75-81%)	Проявлено владение удовлетворительным спектром практических навыков, допущены некоторые ошибки, присутствуют пробелы в знаниях.
	D (67-74%)	Использованы отдельные практические навыки, они применяются слабо или неадекватно.
	E (60-66%)	Обучающийся показывает недостаточную компетентность в области практических навыков, крайне слабое их применение.
	F (менее 60%)	Отсутствие владения практическим навыком.
ОТЧЕТ О СОСТОЯНИИ ПАЦИЕНТА	A (90-100%)	Четкий и полный доклад обучающегося о состоянии пациента, результатах диагностических мероприятий, проводимом лечении и клинической динамике в соответствии с утвержденным планом. Полные и аргументированные ответы на вопросы преподавателя.
	B (82-89%)	Незначительные ошибки и неточности при докладе обучающегося о состоянии пациента, результатах диагностических мероприятий, проводимом лечении и клинической динамике в соответствии с утвержденным планом. Полные и аргументированные ответы на вопросы преподавателя.
	C (75-81%)	Удовлетворительный доклад обучающегося о состоянии пациента, результатах диагностических мероприятий, проводимом лечении и клинической динамике в соответствии с утвержденным планом. Наличие

		ошибок в ответах на вопросы преподавателя.
	D (67-74%)	Слабый доклад обучающегося о состоянии пациента, результатах диагностических мероприятий, проводимом лечении и клинической динамике в соответствии с утвержденным планом. Наличие ошибок в ответах на вопросы преподавателя.
	E (60-66%)	Слабый доклад обучающегося о состоянии пациента, результатах диагностических мероприятий, проводимом лечении и клинической динамике в соответствии с утвержденным планом. Не может ответить на вопросы преподавателя.
	F (менее 60%)	Неумение сделать доклад о состоянии пациента. Отсутствие ответов на вопросы преподавателей.
НАПИСАНИЕ УЧЕБНОЙ ИСТОРИИ БОЛЕЗНИ	A (90-100%)	Работа полностью отвечает требованиям и схеме оформления истории болезни. Написана грамотно, с использованием современной медицинской терминологии. Обучающийся умеет осознанно и оперативно трансформировать полученные знания при характеристике теоретических, клинико-диагностических, лечебных аспектов изучаемой дисциплины.
	B (82-89%)	Работа полностью отвечает требованиям и схеме оформления истории болезни. Написана грамотно, с использованием современной медицинской терминологии. Обучающийся владеет логикой изложения, выделяет главное, осознанно использует научные понятия,

		клинические симптомы, диагностические данные, основные методы лечения, допуская несущественные ошибки или неточности.
	C (75-81%)	Работа полностью отвечает требованиям и схеме оформления истории болезни. Написана с ошибками в использовании терминологии. Обучающийся владеет логикой изложения, выделяет главное, но допускает незначительные ошибки в трактовке клинических симптомов, диагностических данных, основных методах лечения. Логика построения выводов не нарушена.
	D (67-74%)	Работа отвечает требованиям и схеме оформления истории болезни. Допущены ошибки в употреблении терминов, трактовке симптомов, методах диагностики и/или лечения, но присутствуют связи между разделами и общее понимание состояния курируемого.
	E (60-66%)	Письменное оформление работы требует незначительных поправок, коррекции. В истории болезни обучающийся удовлетворительно описывает результаты клинического обследования больного, без осмысления связей между разделами, допускает ошибки в трактовке клинической картины, диагностики и лечении пациента. Содержание истории болезни отражает состояние курируемого, но при этом видна низкая степень осмысления и познания сути данного состояния.
	F (менее	Письменное оформление работы

	60%)	требует значительной коррекции. В истории болезни отсутствует логика, отсутствует ряд результатов клинического обследования, отсутствуют связи между разделами. Содержание истории болезни не отражает состояния курируемого.

6.2. Организация промежуточной аттестации обучающихся

Семестр 8

Форма промежуточной аттестации согласно учебному плану – **зачет**.

К промежуточной аттестации по дисциплине не допускаются обучающиеся, посетившие менее 60% клинических практических занятий и менее 50% лекций.

Содержание промежуточной аттестации: индивидуальный академический рейтинг обучающегося.

Индивидуальный академический рейтинг (ИАР) обучающегося складывается из следующих показателей:

Форма контроля	**Коэффициент (от 100%)**
Посещаемость	0,2
Прочие формы текущего контроля	0,8

6.3. Список вопросов для подготовки к текущему контролю по дисциплине Принципы генной, клеточной и молекулярной терапии

1. Предмет и задачи дисциплины генная и клеточная терапия.
2. Определение генной терапии и клеточной терапии, разницы между подходами.
3. Типы вирусных векторов, невирусные методы доставки.
4. Этические вопросы клеточной и генной терапии.
5. Безвекторный перенос генов, типы, примеры.
6. Перенос генов в клетки человека и животных с помощью вирусных векторов, типы вирусных векторов.
7. Стратегии клеточной терапии, методы, типы клеток.
8. Виды молекулярной терапии, таргетная терапия, использование малых молекул, субстрат-редуцирующая терапия, шапероны.
9. Основы генетики. Функции ДНК, хромосом, паттерны наследования болезней.
10. Методологии скрининга и выявления генетических дефектов.

11. Основные технологии секвенирование следующего поколения, цитогенетики, молекулярной и пренатальной диагностики.
12. Персонализированная медицина, определение, применение.
13. Концепции клеточной иммунотерапии рака и других иммунных заболеваний, примеры.
14. Иммунология и иммунотерапия рака.
15. Химерный антигенный рецептор (CAR) Т-клеток, стратегии для снижения токсичности и предотвращения ухода от терапии.
16. Патофизиология лизосомных болезней накопления, классификация.
17. Лизосомные болезни накопления, современные методы и подходы к терапии.

*Полный объем учебных и методических материалов, а также оценочные средства и критерии оценки, обеспечивающие реализацию программы дисциплины (практики) содержатся в электронной образовательной среде.

7. МЕТОДИЧЕСКИЕ УКАЗАНИЯ ДЛЯ ОБУЧАЮЩИХСЯ ПО ОСВОЕНИЮ ДИСЦИПЛИНЫ

Лекции проводятся посредством устного изложения учебного материала с элементами подхода и беседы.

Практические занятия проводятся в малых группах в учебных аудиториях клинической базы, оснащенных мультимедийной техникой, выходом в Интернет и доступом в электронную информационно-образовательную среду МГИМО-МЕД.

Самостоятельная работа студентов предполагает изучение учебной литературы, материалов лекций использования интернет-ресурсов по изучаемой теме.

Разделы и темы дисциплины для самостоятельного изучения обучающимися программой не предусмотрены.

8. ИНЫЕ СВЕДЕНИЯ И (ИЛИ) МАТЕРИАЛЫ

9. ЛИСТ РЕГИСТРАЦИИ ВНЕСЕННЫХ ИЗМЕНЕНИЙ

Лист регистрации внесенных изменений
в рабочую программу дисциплины _____

(наименование дисциплины)
образовательной программы по направлению подготовки

_____
(наименование, шифр)

Рабочая программа дисциплины актуализирована на 20__/20__ уч. год. Протокол заседания методического совета №__от «___»_____20__ года.

Рабочая программа дисциплины актуализирована на 20__/20__ уч. год. Протокол заседания методического совета №__от «___»_____20__ года.

Рабочая программа дисциплины актуализирована на 20__/20__ уч. год. Протокол заседания методического совета №__от «___»_____20__ года.

В случае внесения изменений в Перечень основной и дополнительной литературы, необходимой для освоения дисциплины, к Листу регистрации внесенных изменений Рабочей программы дисциплины прилагается обновленный Перечень основной и дополнительной литературы, необходимой для освоения дисциплины на соответствующий учебный год.