Приложение № 4
к образовательной программе высшего образования – программе магистратуры
по направлению подготовки 06.04.01 Биология
(направленность (профиль) «Генетика и генетические технологии»)

АВТОНОМНАЯ НЕКОММЕРЧЕСКАЯ ОБРАЗОВАТЕЛЬНАЯ ОРГАНИЗАЦИЯ ВЫСШЕГО ОБРАЗОВАНИЯ «НАУЧНО-ТЕХНОЛОГИЧЕСКИЙ УНИВЕРСИТЕТ «СИРИУС»
(АНОО ВО «УНИВЕРСИТЕТ «СИРИУС»)

ДОКУМЕНТ ПОДПИСАН
ЭЛЕКТРОННОЙ ПОДПИСЬЮ
Сертификат: 7835bcdac1c89a3da835a18f6045494f3f404337
Владелец: Некрасова Людмила Андреевна
Действителен: с 08.07.2026 до 08.07.2027

РАБОЧАЯ ПРОГРАММА ДИСЦИПЛИНЫ (МОДУЛЯ)

«Генная терапия и методы генетического редактирования»

1. Трудоемкость дисциплины (модуля): 4 з.е.

2. Место дисциплины (модуля) в учебном плане:

Часть, формируемая участниками образовательных отношений, «Профессиональной подготовки» – «Дисциплины (модули) специализации (Медицинская генетика и геномика)» в рамках Блока Дисциплин (модулей) по выбору, реализуется во 2 семестре.

3. Цель дисциплины (модуля): формирование у обучающихся системы знаний и практических навыков в области использования методов и технологий генной терапии в клинике.

4. Задачи дисциплины (модуля):

– сформировать знания о методах и технологиях генной терапии;

– дать представления о фармацевтической разработке генотерапевтических препаратов, современных биомедицинских технологиях;

– сформировать навыки, позволяющие осуществлять разработку новых и совершенствование существующих генотерапевтических препаратов и биомедицинских технологий;

– научить подбирать оптимальные инструменты генетического редактирования для терапии различных типов заболеваний.

5. Перечень разделов (тем) дисциплины (модуля) и их краткое содержание:

Наименование раздела (темы) дисциплины (модуля)	**Краткое содержание**
Раздел 1. Результаты и перспективы применения методов и технологий генной терапии в клинике	Биотехнологические лекарственные препараты и продукты передовой терапии, вирусные и невирусные системы доставки генов, антисенс-терапия. Применение методов анализа генома в современной биомедицине. Вирусные векторы для генной терапии, онколитические вирусы и их клиническое применение.
Раздел 2. Инструменты генетического редактирования	Геномные редакторы, история открытия, типы редакторов, структура. Опыт клинического применения CRISPR/Cas9 систем и редакторов оснований. Принцип работы фаговой эволюции для направленной инженерии белков (PACE), примеры использования. Опыт доклинического и клинического применения прайм-редактирования.

Раздел 3. Новые технологии доставки генов и создание моделей заболеваний	Невирусные системы доставки генетических конструкций, IVT, технология и модификации мРНК. LNP-mRNA: примеры клинического применения и успеха. ИПСК и МСК: история, технология получения, применение in vitro и in vivo, применение в клинике. Разработка животных моделей для оценки эффективности генотерапевтических препаратов.
Раздел 4. Особенности фармацевтической разработки генотерапевтических препаратов и новые биомедицинские технологии	Особенности фармацевтической разработки и методы контроля качества генотерапевтических продуктов. Особенности организации доклинических и клинических исследований генотерапевтических продуктов.
Раздел 5. Выбор мишени, редактора и дизайн генетической конструкции для разработки генотерапевтического продукта	Дизайн генетических конструкций для редактирования, анализ кейсов.

6. Образовательные результаты освоения дисциплины (модуля):

Код и наименование компетенции	**Код и наименование индикатора достижения компетенции**
ПК-4. Способен проводить экспериментальные исследования с использованием генетических и геномных технологий и высокотехнологичного лабораторного оборудования	ИПК-4.3. Организовывает научное исследование на основе современной методологии с использованием генетических и геномных технологий и высокотехнологичного лабораторного оборудования
	ИПК-4.4. Работает с высокотехнологичным лабораторным оборудованием общего назначения, а также специализированными приборами для молекулярно-генетических исследований (амплификаторы, приборы для электрофоретического разделения биомолекул и другие)
	ИПК-4.6. Обобщает, анализирует, визуализирует, интерпретирует и оформляет результаты экспериментальных исследований в соответствии с требованиями к отчетной документации
ПК-2. Способен применять методы молекулярной диагностики наследственных заболеваний и использовать молекулярно-генетические методы исследования в области медицины и биотехнологии	ИПК-2.3. Собирает, отбирает и использует необходимые данные и эффективно применяет количественные методы их анализа
	ИПК-2.4. Применяет методы молекулярной диагностики наследственных заболеваний и использует молекулярно-генетические методы исследования в области медицины и

	биотехнологии