

**Федеральное государственное бюджетное учреждение науки
ИНСТИТУТ БИООРГАНИЧЕСКОЙ ХИМИИ
им. академиков М.М. Шемякина и Ю.А. Овчинникова
Российской академии наук
(ИБХ РАН)**

СОГЛАСОВАНО:

Ученый совет ИБХ РАН

Протокол № 9 от «02» ноября 2022г.

Ученый секретарь

д.ф.-м.н. В.А.Олейников

от «02» ноября 2022г.

УТВЕРЖДАЮ:

Директор ИБХ РАН

академик А.Г.Габитов

от «02» ноября 2022г.

**РАБОЧАЯ ПРОГРАММА ДИСЦИПЛИНЫ
«ГЕНЫ, ГЕНОМ, ГЕНОТЕРАПЕВТИЧЕСКИЕ ПРЕПАРАТЫ»**

Шифр и наименование

группы научных специальностей:

1.5. Биологические науки

1.4. Химические науки

Уровень высшего образования: подготовка научных
и научно-педагогических кадров в аспирантуре

Форма обучения: очная

Москва 2022

Рабочая программа разработана в соответствии с федеральными государственными требованиями к структуре программ в аспирантуре (Приказ Минобрнауки России от 20.10.2021 г. № 951), утвержденным Учебным планом аспирантов на основании решения Ученого совета (Протокол № 9 от 02.11.2022 г.).

1. Краткая аннотация

Генотерапевтические лекарственные препараты (ГТЛП) в настоящее время активно разрабатываются в различных странах. Однако их применение сопряжено с особыми проблемами безопасности, специфичными для этого класса препаратов. В курсе лекций будут рассмотрены технологии NGS (next generation sequencing - секвенирование ДНК), микрочипов, иммунопреципитации хроматина и дальнейшего секвенирования связанных с хроматином ДНК (ChIP-seq), технологии исследования ДНК-белок взаимодействия, генетическая и эпигенетическая регуляции генов и взаимодействие транскрипционных факторов и регуляторных белков с ДНК, роль факторов наследственности и изменчивости в биологической эволюции, а также генетические аспекты процессов видообразования,

2. Объем программы и виды учебной работы

Объем программы составляет 72 академических часов (2 зачётных единицы)
Лекционно/семинарские занятия могут проводиться в очной форме.

3. Распределение аудиторных часов по темам и видам учебной работы:

№	Наименование тем дисциплины	Количество аудиторных часов, в том числе:			Самост. работа (час)	Контр-оль
		лекции	практические занятия (семинары)	Лабораторные работы		
1	Гены - Геном - Геномика	4				
2	Функциональная геномика	2				
3	Пайплайны для геномного-экзомного секвенирования	4				
4	Структурная геномика	2				
5	Геномика - транскриптомика - протеомика	4				
6	Эволюционная биология развития	4				
7	Редактирование генома растений	2				
8	Генотерапевтические препараты —	2				

	относительно новое направление в биотехнологическо й индустрии					
9	Создание лекарственных средств нового поколения	4				
10	NGS в медицине глазами клинициста - методы, клиническое значение, интерпретация, эволюция методов. Онкогенетика.	4				
	Всего часов	32			36	4

4. Итоговый контроль

Зачёт проводится в виде сданного реферата на тему, предложенную в программе. Реферат проверяется на оригинальность в системе «Антиплагиат». Оригинальность содержательной части должна составлять не менее 75%.

Форма контроля	Индикаторы	Итоговый результат
Зачёт	<p>Реферат полно и исчерпывающе раскрывает тему. Аспирант демонстрирует уверенные знания теории.</p> <p>Реферат раскрывает тему, но есть незначительные замечания, несущественные неточности.</p> <p>Реферат не полной мере раскрывает тему, есть существенные замечания. Имеются существенные неточности.</p>	зачет
	Реферат частично (в существенной его части) или полностью не раскрывает тему.	незачет

5. Темы рефератов:

1. Сравнительный анализ организации и структуры генов и геномов плазмид, вирусов, органелл, прокариот и эукариот.
2. Хромосомная организация генов и некодирующей ДНК.
3. Уровни молекулярной организации геномов.

4. Технологии NGS (next generation sequencing - секвенирование ДНК), микрочипов, иммунопреципитации хроматина и дальнейшего секвенирования связанных с хроматином ДНК (ChIP-seq).
5. Технологии исследования ДНК-белок взаимодействия.
6. Генетическая и эпигенетическая регуляции генов и взаимодействие транскрипционных факторов и регуляторных белков с ДНК.
7. Функциональная аннотация генома.
8. Пайплайны для геномного-экзомного секвенирования, классификации вариантов по патогенности. Базы данных.
9. Структурные элементы генома эукариот.
10. Структурная аннотация – разбивка генома на гены. Генные сети.
11. Структура генома человека и вариации.
12. Определение пространственного строения «ключевых» белков.
13. Негеномные (пост-геномные) данные.
14. Системная биология (сети и модели).
15. Эволюция геномов.
16. Проекты постгеномной эры.
17. Эволюционная генетика. Роль факторов наследственности и изменчивости в биологической эволюции, а также генетические аспекты процессов видообразования.
18. Новые пути для формирования нового и ценного для жизнедеятельности человека генетического разнообразия растений.
19. Метод отбора форм и клонов особей с искомыми признаками.
20. Разработка генотерапевтических лекарственных препаратов для персонализированной терапии - мегатренд развития биомедицины.
21. Номенклатура генотерапевтических лекарственных препаратов: международный опыт.
22. Создание лекарственных средств нового поколения: от идеи до производства. Регуляторная наука (руководство ICH). Общие требования к производству генотерапевтических препаратов.
23. Испытания фармацевтической субстанции.
24. Испытания лекарственного препарата.
25. Сравнение различных методов NGS. Применение секвенирования нового поколения. Использование NGS для идентификации мишеней для лекарственной терапии онкологических больных.
26. Терапия CAR-T - прогрессивный метод лечения злокачественных опухолей

6. Литература.

1. Альбертс Б. Основы молекулярной биологии клетки. 2018.
2. С.Н. Щелкунов. Генетическая инженерия. Сибирское университетское издательство. Новосибирск. 2010.
3. Сverdlov E.D. Взгляд на жизнь через окно генома: В 3т. Очерки структурной молекулярной генетики. Т. 1. М. Наука, 2009.
4. И.Ф. Жимулев. Общая и молекулярная генетика. Сибирское университетское издательство. Новосибирск. 2003.
5. Dale J.W., von Schantz M. From Genes to Genomes: Concepts and Applications of DNA Technology. 2002 John Wiley & Sons, Ltd.
6. Primrose S.B, Twyman R.M., Old R.W. Principles of Gene Manipulation: Sixth Edition.

7. B.S. Ahloowalia, M. Maluszynski, K. Nichterlein. (2004). Global impact of mutation-derived varieties. *Euphytica*. 135, 187-204.
8. Jones M. (2015). The invention of recombinant DNA technology. Berg, Boyer, Cohen. Life sciences at Chemical Heritage Foundation.
9. Doogab Yi. The Recombinant university: genetic engineering and the emergence of Stanford biotechnology. University of Chicago Press, 2015.
10. Regalado A. (2016). The World's most expensive medicine is a bust. MIT Technology Review.
11. Heidi Ledford. (2017). Broad Institute wins bitter battle over CRISPR patents. *Nature*. 542, 401-401.
12. McDivitt P. (2017). Green technology: Disease-resistant GMO tomato that could eliminate need for copper pesticides, double yields—blocked by public fears. Genetic Literacy Project.
13. Рекомендации по организации производства, оценке качества, проведению доклинических и клинических исследований генотерапевтических лекарственных препаратов. М.: «Лаборатория знаний», 2018. <http://clinicaltrials.gov>
14. Statement from FDA Commissioner Scott Gottlieb, M.D. and Peter Marks, M.D., Ph.D., Director of the Center for Biologics Evaluation and Research on new policies to advance development of safe and effective cell and gene therapies.
15. Nomenclature schemes for advanced therapies (substances for gene therapies, substances for cell therapies, substances for cell-based gene therapies and virus-based therapies).
16. Олефир Ю.В. и др. Номенклатура биомедицинских клеточных продуктов. Ремедиум. 2017;3:6-11.
17. FDA. Approved Cellular and Gene Therapy Products.

7. Программное обеспечение

- Microsoft Office Professional Plus 2010 / Из внутренней сети ИБХ РАН
- Microsoft Windows 7 Professional RUS / Из внутренней сети ИБХ РАН
- Mozilla Firefox / Свободное лицензионное соглашение

8. Профессиональные базы данных, информационные справочные системы, интернет-ресурсы (электронные образовательные ресурсы)

- Consultant Plus
- Garant system
- Библиотека ИБХ РАН

9. Материально-техническое обеспечение дисциплины - типы аудиторий, оснащение аудиторий

- Персональный компьютер
- Набор демонстрационного оборудования

Может включать в себя: мультимедийный проектор, проекционный экран, доску, презентационный ноутбук и другие средства демонстрации учебного контента. Допускается использование для проведения занятий переносного набора демонстрационного оборудования.

- Доска
- Экран
- Специализированная мебель
- Наличие беспроводного доступа в Интернет по сети Wi-Fi