



Sveučilište u Rijeci  
University of Rijeka



Detaljni izvedbeni nastavni plan za kolegij:

### **Genska terapija– BUM103**

**Akadska godina:** 2019/2020

**Studij:** Diplomski sveučilišni studij *Biotehnologija u medicini, I godina studija*

**Kod kolegija:** BUM 103

**ECTS bodovi:** 3

**Jezik na kojem se izvodi kolegij:** Hrvatski

**Nastavno opterećenje kolegija:** 23 sata (10P + 10S + 3V)

**Preduvjeti za upis kolegija:** položeni ispiti preddiplomskog studija Biotehnologija i istraživanje lijekova: BIL 104 Stanična i molekularna biologija, BIL301 Osnove molekularne medicine i BIL305 Bioeseji u istraživanju lijekova (ili predmeti koji donose osnove molekularne biologije i metoda ukoliko se student upisuje na diplomski studij s nekog srodnog studija)

#### **Nositelj kolegija i kontakt podaci:**

Titula i ime: Dr. sc. Sandra Kraljević Pavelić, izvanredni profesor

Adresa: Odjel za biotehnologiju Sveučilišta u Rijeci, Radmile Matejčić 2

tel: + 385 510584569

e-mail: [sandrakp@biotech.uniri.hr](mailto:sandrakp@biotech.uniri.hr)

**Vrijeme konzultacija:** Po dogovoru putem e-maila ([sandrakp@biotech.uniri.hr](mailto:sandrakp@biotech.uniri.hr))

**Izvođači i nastavna opterećenja** (suradnici, asistenti, tehničar/laborant):

Dr. sc. Sandra Kraljević Pavelić, izvanredna profesorica (8P+10S+3V)

Dr. sc. Krešimir Pavelić, profesor (2P)

#### **Obavezna literatura:**

- Understanding Gene Therapy, Ed. N.R. Lemoine, BIOS Scientific Publishers, London 1999.



### Preporučena dodatna literatura (izborna):

- Gene and Cell Therapy – Therapeutics Mechanisms and Strategies, Third Edition, Ed. Nancy Smyth Tempelton, CRC Press, New York, 2009
- Lentiviral vectors and Gene Therapy, D.. Escors, K. Breckpot, F. Arce, G. Kochan, H. Stephenson, Springer, 2012.
- Web resursi :  
<http://learn.genetics.utah.edu/content/tech/genetherapy/spacedoctor/sd.swf>  
<http://www.genetherapynet.com/clinical-trials.html>  
<http://www.clinigene.eu/data/index.lasso>  
<http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/CellularGeneTherapyProducts/default.htm>  
<http://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/guidanceComplianceRegulatoryInformation/Guidances/CellularandGeneTherapy/default.htm>

### Opis predmeta:

Kolegij donosi pregled pristupa, tehnika i kliničkih protokola iz područja genske terapije. Kolegij osigurava studentima mogućnost stjecanja osnovnih znanja i koncepata za razumijevanje mehanizama genske terapije i osmišljavanja eksperimentalnih protokola. Tijekom provedbe kolegija objasniti će se i opisati princip primjene genske terapije, vrste vektora i klinička primjena genske terapije u liječenju monogenih bolesti, poligenih bolesti i infektivnih bolesti. Tijekom kolegija student će steći znanje koje im je potrebno za razumijevanje mogućnosti i ograničenja genske terapije bolesti, principa proizvodnje genskih lijekova, principa rada genskih lijekova te etičkih implikacija ovakvog oblika liječenja.

### Ciljevi i očekivani ishodi predmeta (razvijanje općih i specifičnih kompetencija)

*Opće kompetencije koje će se razvijati na predmetu:*

A1, A2, A3, A5, A8, A7; B1, B2, B4, B5; C1, C2, C3, C4.

*Specifične kompetencije koje će se razvijati na predmetu:*

- Usvajanje osnova principa i vrsta genske terapije
- Upoznavanje s osnovnim vrstama nosača/vektora u genskoj terapiji
- Usvajanje temeljnih znanja o mogućnostima djelovanja genskim lijekovima na pojedine vrste oboljenja
- Upoznavanje sa standardnim i najaktualnijim protokolima za gensku terapiju u kliničkoj praksi
- Kritično analiziranje znanstvenih članaka i javno prezentiranje znanstvenog djela koristeći primjere iz suvremene literature.

### Ishodi učenja:



Studenti će nakon položenog ispita biti u stanju:

1. Opisati vrste genske terapije i vektore koji se koriste u genskoj terapiji
2. Opisati i razumjeti principe djelovanja genske terapije
3. Obrazložiti i razumjeti probleme primijene genske terapije u kliničkoj praksi
4. Samostalno analizirati i prezentirati rezultate znanstvenih istraživanja iz područja genske terapije

**Detaljni sadržaj kolegija:**

**A Predavanja:**

**P1 – Uvod u gensku terapiju (1h)**

- Princip genske terapije
- Vrste genske terapije

**P2 – Adenovirusni vektori i herpesvirusni vektori - klinička primjena (2h)**

- Vrste adenovirusa i adenzdruženi virusi
- Vrste adenovirusnih vektora
- Vrste adeno-združenih vektora
- Vrste herpesvirusa
- Vrste herpesvirusni vektora
- Klinički protokoli za gensku terapiju adenoviralnim i herpesvirusnim vektorima

**P3 – Lentivirusni vektori i njihova klinička primjena (1h)**

- Vrste lentivirusa i lentiviralnih vektora
- Klinički protokoli za gensku terapiju lentiviralnim vektorima

**P4 – Nevirusni vektori i njihova klinička primjena (1h)**

- Anorganski genski vektori
- Biorazgradivi genski vektori
- Ulazak polimera i liposoma u eukariotisku stanicu
- Fizikalne metoda unosa genskih lijekova

**P5 – Klinička primjena genske terapije za liječenje monogenskih bolesti (2h)**

- Monogenske bolesti
- Genska terapija cistične fibroze
- Genska terapija nasljednih metaboličkih oboljenja
- Genska terapija mitohondrijskih oboljenja
- Genska terapija hemofilije



- Genska terapija autoinflamatornih sindroma

**P6 – Klinička primjena genske terapije za liječenje poligenih bolesti (1h)**

- Poligenih bolesti
- Genska terapija neurodegenerativnih oboljenja
- Genska terapija raka

**P7 – Klinička primjena genske terapije za liječenje infektivnih bolesti (1h)**

- Genska terapija sindroma stečene imunodeficijencije

**P8 – Genska terapija i doping (1h)**

- Doping i genski doping
- Eritropoetin i VEGF u dopingu
- Genska terapija u Duchennovoj mišićnoj distrofiji

### Seminari

**S1 - Etička pitanja u genskoj terapiji I (1h)**

**S2 - Etička pitanja u genskoj terapiji II (1h)**

**S3 - Provedba kliničkih pokusa (1h)**

**S4 - Gensko editiranje (1h)**

**S5 - Transhumanizam i genska terapija I (1h)**

**S6 - Transhumanizam i genska terapija II (1h)**

**S7 - Rezultati recentnih kliničkih testiranja u području genske terapije monogenih bolesti (1h)**

**S8 - Rezultati recentnih kliničkih testiranja u području genske terapije poligenih bolesti (1h)**

**S9 - Rezultati recentnih kliničkih testiranja u području genske terapije infektivnih bolesti (1h)**

**S10 - Umjetni kromosomi (1h)**

### Vježbe

**V1 - Određivanje titra adenovirusnih vektora: Priprema podloge za određivanje virusnog titra i pročišćavanje vektora (I dio), računanje virusnog titra (II dio) (3h)**

### Obveze, način praćenja i vrednovanje studenata:

Nastava je organizirana u obliku predavanja, seminara i vježbi povezanih tematskim cjelinama.

Polaznici će unaprijed dobiti dio materijala koji su neophodni za pripremu seminarske radnje i Power point prezentacije. Dio materijala studenti su dužni prikupiti samostalno. Predavanja i seminari su obavezni, a očekuje se aktivno sudjelovanje u nastavi. Na seminarima će studenti raspravljati o objavljenim



istraživanjima i problemima iz područja samostalno i u grupi. Studenti će učiti originalno i kritički raspravljati s jasnim argumentima. Ovakav pristup uključuje razvijanje verbalnih sposobnosti, odnosno vježbanju i razvijanju učinkovitog prezentiranja ideja i argumenata u govornom i pisanom obliku te analitičkih sposobnosti zaključivanja. Predavanja, seminari i vježbe su obvezni o čemu će se voditi evidencija za svakog studenta. Zakašnjenje studenta biti će tretirano kao izostanak. Dozvoljeno je opravdano izostati s 10% nastave (do ukupno 3 sata).

#### Formiranje ocjene:

Ocjena kolegija temeljit će se na elementima kontinuiran nastave što iznosi 70% ocjenskih bodova (pohađanju nastave, seminarskoj radnji koja se mora predati u pismenom obliku i kao ppt prezentacija, kolokviju provjere teorijskog znanja) i završnom ispitu koji nosi 30% ocjenskih bodova. Od studenata se očekuje aktivno sudjelovanje u radu, korištenje informacijske tehnologije i aktivno pretraživanje internetskih baza podataka i materijala dostupnih na Internetu. Očekuje se da studenti na vježbe i seminare dođu pripremljeni. Očekuje se da studenti koriste računalne programe Microsoft Word i Microsoft Power Point, pretraživače Interneta te da se aktivno služe engleskim jezikom zbog dostupne literature. Konzultacije s nastavnicima održavati će se prema dogovoru, a kontaktiranje će biti omogućeno na svakodnevnoj osnovi putem e-maila i web sučelja Merlin.

Ocjenjivanje studenata vrši se primjenom ECTS (A-E) i brojčanog sustava (1-5). Ocjenjivanje u ECTS sustavu izvodi se apsolutnom raspodjelom. Kontinuirana nastava iznosi 70% ocijene, a završni ispit 30% ocjene. Za prolaznu ocjenu, student mora biti prisutan na najmanje 50% nastavnih sati. Studenti koji su tijekom kontinuiranog dijela nastave ostvarili:

- od 0 do 34,9% ocjenskih bodova ne mogu pristupiti završnom ispitu
- više od 35% ocjenskih bodova mogu pristupiti završnom ispitu.

Studenti su dužni redovito pohađati nastavu, odraditi laboratorijske vježbe i proći kontinuiranu provjeru znanja.

#### Ocjenjivanje prisutnosti na nastavi:

% ostvarenih bodova	ECTS	Bodovi
90% do 100%	A	5
75% do 89,9%	B	4
60% do 74,9%	C	3
50% do 59,9%	D	2
40% do 49,9%	F	1



Također, studenti će u sklopu nastave prezentirati i **Power Point prezentaciju (.ppt) svog seminara** koja **treba sadržavati** 10-15 slajdova **te koja** će biti usmeno prezentirana (najviše 15-20 minuta) i koja vrijedi **najviše 15 bodova (100%)**. Ukoliko student pripremi prezentaciju ali je zbog objektivnog razloga loše prezentira (slabije verbalne sposobnosti), prezentacija će se vrednovati s **8 bodova (50%)**.

**Za prolaznu ocjenu potrebno je predati seminar koji nosi najmanje 7 bodova (ocjena F):**

% ostvarenih bodova	ECTS ocjena	Bodovi
90% do 100%	A	<b>14-15</b>
75% do 89,9%	B	<b>13</b>
60% do 74,9%	C	<b>11-12</b>
50% do 59,9%	D	<b>8-10</b>
40 – 49,9%	F	<b>7</b>

#### Završni seminarski rad

Svi studenti su **obvezni napisati seminarski rad i predati ga** do kraja izvođenja nastave u pisanom obliku. **Pisani seminarski rad** predaje se u **digitalnom (.doc) obliku e-mailom ili pisanom obliku (isprint) nastavniku**. Svaki **seminar** u pisanom obliku **treba sadržavati najmanje 6 stranica teksta A4** (vrsta slova Arial, veličina fonta 11, margine 2,5 cm, prored 1,5). **Pisani seminarski rad** može vrijediti najviše 15 bodova **(100%)**.

% ostvarenih bodova	ECTS ocjena	Bodovi
90% do 100%	A	<b>14-15</b>
75% do 89,9%	B	<b>13</b>
60% do 74,9%	C	<b>11-12</b>
50% do 59,9%	D	<b>8-10</b>
40% do 49,9%	F	<b>7</b>

**Kolokvij je u pismenom obliku i donosi 35 bodova, te sadrži zadatke iz problematike obrađene tijekom predavanja.**



**Ocjenjivanje kolokvija:**

% ostvarenih bodova	ECTS ocjena	Broj bodova
90% do 100%	A	<b>32 - 35</b>
75% do 89,9%	B	<b>28 - 31</b>
60% do 74,9%	C	<b>25 - 27</b>
50% do 59,9%	D	<b>21 - 24</b>
40% do 49,9%	F	<b>18 - 20</b>

Na kraju kolegija studenti polažu završni pismeni ispit koji nosi najviše 30 bodova i ocjenjivat će se na slijedeći način:

% ostvarenih bodova	ECTS ocjena	Broj bodova
90% do 100%	A	<b>27 - 30</b>
75% do 89,9%	B	<b>25 - 26</b>
60% do 74,9%	C	<b>22 - 24</b>
50% do 59,9%	D	<b>16 - 21</b>
40% do 49,9%	F	<b>0 - 15</b>

**Sveukupna ocjena iz kolegija dobiva se prema predviđenom udjelu po vrsti aktivnosti:**

	Aktivnost studenta	Metoda ocjenjivanja
<b>Pohađanje nastave</b>		Kontrola pohađanja nastave/prisutnosti na nastavi
<b>Power point prezentacija</b>	Pripremljena i predstavljena Power point prezentacija (.ppt).	Postoci se pretvaraju u bodove
<b>Pisani seminar</b>	Pismeni oblik	Postoci se pretvaraju u bodove
<b>Završni ispit</b>	Pismeni oblik	Postoci se pretvaraju u bodove

Prema postignutom ukupnom broju ocjenskih bodova koji se pretvaraju u postotke dodjeljuju se sljedeće



**konačne ocjene:**

Ocjenski bodovi (ukupno)	Postotak usvojenog znanja i vještina	ECTS ocjena	Brojčana ocjena
90 -100	90% do 100%	A	Izvrstan (5)
75 – 89	75% do 89,9%	B	Vrlo dobar (4)
60- 74	60% do 74,9%	C	Dobar (3)
50 – 59	50% do 59,9%	D	Dovoljan (2)
0 – 49	0% do 49,9%	F	Nedovoljan (1)

Konačna ocjena je zbroj bodova ostvarenih tijekom nastave i bodova ostvarenih na završnom ispitu, a prolazne ocjene su izvrstan (5), vrlo dobar (4), dobar (3) i dovoljan (2).

**Ispitni rokovi:**

1. ispitni rok održat će se 16.01.2020. u prostoriji Odjela za biotehnologiju O-030 (I kat) u terminu 11:00-12:30

Ostali ispitni rokovi će se održati u dogovoru sa studentima.

**Dodatne informacije:**

**Akademski čestitost**

Studenti su dužni poštovati načela akademske čestitosti te se upućuju na dokumente Sveučilišta u Rijeci: *Etički kodeks Sveučilišta u Rijeci* te *Etički kodeks za studente*.

Mole se svi studenti da se odazovu vrednovanju kvalitete nastavnog rada nastavnika i suradnika kako bi se na temelju procjena i sugestija mogla unaprijediti nastava na ovom kolegiju. Vrednovanje nastave putem ISVU sustava provodi se aplikacijom „studomat“ na obrascu definiranom na razini Sveučilišta u Rijeci, a rezultati su anonimni. Više informacija o svim aspektima ovog procesa možete pronaći u Priručniku za kvalitetu studiranja Sveučilišta u Rijeci.





**Raspored nastave:**

Datum	Grupa	Vrijeme	Broj sati	Mjesto	Oblik nastave	Izvođač
07.01.2020.	svi	12:00 - 12:45	1	O-268	P1	Sandra Kraljević Pavelić
07.01.2020.	svi	12:45 – 13:30	1	O-268	P2	Sandra Kraljević Pavelić
07.01.2020.	svi	13:30 – 14:15	1	O-268	P3	Sandra Kraljević Pavelić
08.01.2020.	svi	10:00 – 10:45	1	O-268	P4	Sandra Kraljević Pavelić
08.01.2020.	svi	10:45 - 11:00	1	O-268	P5	Sandra Kraljević Pavelić
08.01.2020.	svi	11:00 – 11:45	1	O-268	P6	Sandra Kraljević Pavelić
09.01.2020.	svi	10:00 – 10:45	1	O-268	P7	Krešimir Pavelić
09.01.2020.	svi	10:45 - 11:00	1	O-268	P8	Krešimir Pavelić
09.01.2020.	1, 2	11:00 – 13:15	3	O-268	V1	Sandra Kraljević Pavelić
10.01.2020.	svi	10:00 – 10:45	1	O-268	S1	Sandra Kraljević Pavelić
10.01.2020.	svi	10:45 - 11:00	1	O-268	S2	Sandra Kraljević Pavelić
10.01.2020.	svi	11:00 – 11:45	1	O-268	S3	Sandra Kraljević Pavelić
10.01.2020.	svi	11:45-12:30	1	O-268	S4	Sandra Kraljević Pavelić
13.1.2020.	svi	12:30 – 13:30	1	O-268	T1	Sandra Kraljević Pavelić
13.1.2020.	svi	13:30 – 14:15	1	O-268	S5	Sandra Kraljević Pavelić
13.1.2020.	svi	14:15-15:00	1	O-268	S6	Sandra Kraljević Pavelić



14.1.2020.	svi	12:30 – 13:15	1	O-268	S7	Sandra Kraljević Pavelić
14.1.2020.	svi	13:15 – 14:00	1	O-268	S8	Sandra Kraljević Pavelić
14.1.2020.	svi	14:00-15:30	1	O-268	S9	Sandra Kraljević Pavelić
14.1.2020.	svi	15:30-16:15	1	O-268	S10	Sandra Kraljević Pavelić
16.01.2020.	svi	11:00-12:30	1.5	O-030	Završni ispit – 1.rok	Sandra Kraljević Pavelić