

КАЗАХСКИЙ НАЦИОНАЛЬНЫЙ УНИВЕРСИТЕТ ИМ. АЛЬ-ФАРАБИ
Факультет Биологии и Биотехнологии
Кафедра Молекулярной биологии и генетики

УТВЕРЖДАЮ

Декан факультета



Курманбаева М. С.
протокол №10

УЧЕБНО-МЕТОДИЧЕСКИЙ КОМПЛЕКС ДИСЦИПЛИНЫ

«104833 Генотерапия»

«7M05105 - Генетика»

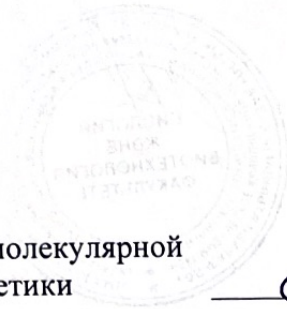
Курс	2
Семестр	3
Кол-во кредитов	5 (1,70+3,30+0)

Алматы 2025 г.

Учебно-методический комплекс дисциплины «104833 Генотерапия» составлен доцентом,
к.б.н. Амировой А. К. на основании образовательной программы «7М05105 - Генетика».

Рассмотрен и рекомендован на заседании кафедры молекулярной биологии и генетики
от «21» 05 2025 г., протокол №22

Зав. кафедрой молекулярной
биологии и генетики



A handwritten signature in black ink, appearing to be 'Ж.К.', is written over a horizontal line.

Жунусбаева Ж.К.

СИЛЛАБУС
Осенний семестр 2025 -2026 учебного года
Образовательная программа «7М05105 - Генетика», 2 курс

ID и наименование дисциплины	Самостоятельная работа обучающегося (СРО)	Кол-во кредитов			Общее кол-во кредитов	Самостоятельная работа обучающегося под руководством преподавателя (СРОП)
		Лекции (Л)	Практ. занятия (ПЗ)	Лаб. занятия (ЛЗ)		
104833 Генотерапия	5	1,70	3,30	0	5	6

АКАДЕМИЧЕСКАЯ ИНФОРМАЦИЯ О ДИСЦИПЛИНЕ

Формат обучения	Цикл, модуль компонент	Типы лекций	Типы практических занятий	Форма и платформа итогового контроля
Офлайн	П, КпВ	проблемная, аналитическая лекция	решение задач, ситуационные задания	Традиционный письменный экзамен, Univer
Лектор - (ы)	к.б.н. доцент Амирова Айгуль Кузембаевна			
e-mail:	aigul.amir@mail.ru			
Телефон:	+7(708)6924842			

АКАДЕМИЧЕСКАЯ ПРЕЗЕНТАЦИЯ ДИСЦИПЛИНЫ

Цель дисциплины	Ожидаемые результаты обучения (РО)*	Индикаторы достижения РО (ИД)
сформировать способность анализировать методы и технологии внедрения или модификации генов в клетки организма для лечения или предотвращения заболеваний. Будут рассмотрены: векторы доставки генов, механизмы трансфекции и трансдукции; целевые заболевания для генной терапии; преодоление иммунных и биологических барьеров в генной терапии; этапы клинических испытаний генной терапии.	1. Оценивать достижения генной терапии в области редактирования генома. Установить перспективы применения и взаимосвязь между основными технологиями, связанные с внедрением или модификацией генов в клетки организма для лечения или предотвращения заболеваний.	1.1 Умеет объяснить связь генной терапии с другими дисциплинами и установить достижения современной генетики и генной инженерии в области генной терапии, рассматриваются методы редактирования генома, использование этих способов в генной терапии. 1.2 Знает основные технологии редактирования генома, и их возможность применения на практике.
	2. Объяснить особенности технологий генной терапии и возможности их применения для решения практических задач. Оценивать возможности применения современных технологий редактирования генома для лечения наследственных болезней.	2.1 Умеет классифицировать методы генной терапии и определять их недостатки и преимущества. 2.2 Знает выбирать соответствующие методы согласно целям использования данных технологий на практике.
	3. Использовать возможности применения новых технологий для лечения заболеваний.	3.1 Умеет объяснить принципы работы методов, и обосновать практическое применение генной терапии. 3.2 Владеет информацией о преимуществах применения различных технологии редактирования генома в генной терапии.
	4. Применить теоретические знания и методические навыки генной инженерии и технологии редактирования генома в генной терапии: соблюдать принцип биобезопасности; оценивать безопасность и эффективность разрешенных к применению методов редактирования.	4.1 Знает принципы, лежащие в основе методов редактирования генома: использование векторов для доставки генов, механизмы трансфекции и трансдукции; целевые заболевания для генной терапии, преодоление иммунных и биологических барьеров в генной терапии. 4.2 Умеет связать теоретические и методические навыки на практике.
	5. Планировать проекты, постановление методов и осуществлять руководство над ними; уметь находить и	5.1 Владеет различными методами геномного редактирования и генной инженерии для достижения

	принимать решения для решения проблем в области генной терапии.	поставленной цели или решения проблем в области генной терапии. 5.2 Умеет дать оценку современным методам и рассмотреть возможности редактирования генома в современном мире для решения будущих проблем.
Пререквизиты	Генопатология, Молекулярная и судебно-медицинская экспертиза, Популяционная генетика	
Постреквизиты	Выполнение магистерской диссертации	
Учебные ресурсы	<p>Литература: основная, дополнительная.</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Бисенбаев А.К. Молекулярная биология: сборник задач и тестов. – Алматы: Казак ун-ті, 2021. – 186 с. 2. Шарипова М.Р. Курс лекций по генетической инженерии: учебное пособие, Казань: К(П)ФУ, 2015.- 114с. 3. Журавлева Г.А. Генная инженерия в биотехнологии: учебник. - СПб.: Эко-Вектор, 2016. - 328 с. 4. Halford Nigel G. Crop Biotechnology: Genetic Modification and Genome Editing. - London: World Scientific, 2018. - 218 p. 5. Макрушин Н. М., Плугатарь Ю. В., Макрушина Е. М., Гончарова Ю.К., Гончаров С. В., Шабанов Р. Ю. Генетика: учебник для ВУЗов: 2-е изд. – Сп-б.: Изд-во «Лань», 2021. – 404 с. <p>Интернет ресурсы:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) http://elibrary.kaznu.kz/ru 2) https://www.isaaa.org/resources/publications/pocketk/16/ 3) https://vc.ru/future/109057-gennaya-inzheneriya-sostoyanie-na-2020 4) https://sites.google.com/site/anogurtsov/lectures/ge 	

Академическая политика дисциплины	<p>Академическая политика дисциплины определяется <u>Академической политикой и Политикой академической честности КазНУ имени аль-Фараби</u>. Документы доступны на главной странице ИС Univer.</p> <p>Интеграция науки и образования. Научно-исследовательская работа студентов, магистрантов и докторантов – это углубление учебного процесса. Она организуется непосредственно на кафедрах, в лабораториях, научных и проектных подразделениях университета, в студенческих научно-технических объединениях. Самостоятельная работа обучающихся на всех уровнях образования направлена на развитие исследовательских навыков и компетенций на основе получения нового знания с применением современных научно-исследовательских и информационных технологий. Преподаватель исследовательского университета интегрирует результаты научной деятельности в тематику лекций и семинарских (практических) занятий, лабораторных занятий и в задания СРОП, СРО, которые отражаются в силлабусе и отвечают за актуальность тематик учебных занятий и заданий.</p> <p>Посещаемость. Дедлайн каждого задания указан в календаре (графике) реализации содержания дисциплины. Несоблюдение дедлайнов приводит к потере баллов.</p> <p>Академическая честность. Практические/лабораторные занятия, СРО развивают у обучающегося самостоятельность, критическое мышление, креативность. Недопустимы плагиат, подлог, использование шпаргалок, списывание на всех этапах выполнения заданий.</p> <p>Соблюдение академической честности в период теоретического обучения и на экзаменах помимо основных политик регламентируют <u>«Правила проведения итогового контроля», «Инструкции для проведения итогового контроля осеннего/весеннего семестра текущего учебного года», «Положение о проверке текстовых документов обучающихся на наличие заимствований».</u></p> <p>Документы доступны на главной странице ИС Univer.</p> <p>Основные принципы инклюзивного образования. Образовательная среда университета задумана как безопасное место, где всегда присутствуют поддержка и равное отношение со стороны преподавателя ко всем обучающимся и обучающихся друг к другу независимо от гендерной, расовой/ этнической принадлежности, религиозных убеждений, социально-экономического статуса, физического здоровья студента и др. Все люди нуждаются в поддержке и дружбе ровесников и сокурсников. Для всех студентов достижение прогресса скорее в том, что они могут делать, чем в том, что не могут. Разнообразие усиливает все стороны жизни.</p> <p>Все обучающиеся, особенно с ограниченными возможностями, могут получать консультативную помощь по телефону/ e-mail aigul_amir@mail.ru либо посредством видеосвязи в в ZOOM: https://us05web.zoom.us/j/88254829221?pwd=mlJuOjokfnvcjeA4lZlO0kDDQ3EG3N.1</p> <p>Интеграция МООС (massive open online course). В случае интеграции МООС в дисциплину, всем обучающимся необходимо зарегистрироваться на МООС. Сроки прохождения модулей МООС должны неукоснительно соблюдаться в соответствии с графиком изучения дисциплины.</p> <p>ВНИМАНИЕ! Дедлайн каждого задания указан в календаре (графике) реализации содержания дисциплины, а также в МООС. Несоблюдение дедлайнов приводит к потере баллов.</p> <p>ИНФОРМАЦИЯ О ПРЕПОДАВАНИИ, ОБУЧЕНИИ И ОЦЕНИВАНИИ</p>
--	--

Балльно-рейтинговая буквенная система оценки учета учебных достижений				Методы оценивания														
Оценка	Цифровой эквивалент баллов	Баллы, % содержание	Оценка по традиционной системе	<p>Критериальное оценивание – процесс соотнесения реально достигнутых результатов обучения с ожидаемыми результатами обучения на основе четко выработанных критериев. Основано на формативном и суммативном оценивании.</p> <p>Формативное оценивание – вид оценивания, который проводится в ходе повседневной учебной деятельности. Является текущим показателем успеваемости. Обеспечивает оперативную взаимосвязь между обучающимся и преподавателем. Позволяет определить возможности обучающегося, выявить трудности, помочь в достижении наилучших результатов, своевременно корректировать преподавателю образовательный процесс. Оценивается выполнение заданий, активность работы в аудитории во время лекций, семинаров, практических занятий (дискуссии, викторины, дебаты, круглые столы, лабораторные работы и т. д.). Оцениваются приобретенные знания и компетенции.</p> <p>Суммативное оценивание – вид оценивания, который проводится по завершению изучения раздела в соответствии с программой дисциплины. Проводится 3-4 раза за семестр при выполнении СРО. Это оценивание освоения ожидаемых результатов обучения в соотнесенности с дескрипторами. Позволяет определять и фиксировать уровень освоения дисциплины за определенный период. Оцениваются результаты обучения.</p> <table border="1"> <thead> <tr> <th>Формативное и суммативное оценивание</th> <th>Баллы % содержание</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Активность на лекциях</td> <td>5</td> </tr> <tr> <td>Работа на практических занятиях</td> <td>20</td> </tr> <tr> <td>Самостоятельная работа</td> <td>25</td> </tr> <tr> <td>Проектная и творческая деятельность</td> <td>10</td> </tr> <tr> <td>Итоговый контроль (экзамен)</td> <td>40</td> </tr> <tr> <td>ИТОГО</td> <td>100</td> </tr> </tbody> </table>	Формативное и суммативное оценивание	Баллы % содержание	Активность на лекциях	5	Работа на практических занятиях	20	Самостоятельная работа	25	Проектная и творческая деятельность	10	Итоговый контроль (экзамен)	40	ИТОГО	100
Формативное и суммативное оценивание	Баллы % содержание																	
Активность на лекциях	5																	
Работа на практических занятиях	20																	
Самостоятельная работа	25																	
Проектная и творческая деятельность	10																	
Итоговый контроль (экзамен)	40																	
ИТОГО	100																	
A	4,0	95-100	Отлично															
A-	3,67	90-94																
B+	3,33	85-89	Хорошо															
B	3,0	80-84																
B-	2,67	75-79																
C+	2,33	70-74																
C	2,0	65-69																
C-	1,67	60-64	Удовлетворительно															
D+	1,33	55-59																
D	1,0	50-54																
Fx	0,5	25-49	Неудовлетворительно															
F	0	0-24																

Календарь (график) реализации содержания дисциплины. Методы преподавания и обучения.

Неделя	Название темы	Кол-во часов	Макс. балл
МОДУЛЬ 1 Основы генной терапии.			
1	Л 1. Генотерапия. Современное состояние. Будущее генной терапии.	1	
	Семинар 1. Цели и принципы генной терапии. Отличие соматической генной терапии от фетальной генной терапии	2	
2	Л 2. Клеточные технологии лечения болезней. Стволовые клетки: Тотипотентность, мультипотентность и плюрипотентность клеток.	1	
	СЗ 2. Уникальные свойства стволовых клеток. Применение стволовых клеток в генной терапии.	2	
	СРМП 1. Консультации по выполнению СРМ 1	1	
3	Л 3. Гены и геном – основа генной терапии. Проблемы генотерапии.	1	
	СЗ 3. Особенности генной терапии и редактирования генома.	2	
4	Л 4. Методы генетической трансфекции в генной терапии.	1	
	СЗ 4. Принципы генной терапии.	2	10
	СРМ 1. Применение стволовых клеток в генной терапии. Классификация наследственных заболеваний человека и стратегии использования методов генотерапии для их лечения.	2	15
5	Л 5. Генотерапия моногенных наследственных заболеваний.	1	
	СЗ 5. Наследственные заболевания и генокоррекция.	2	10
	СРМП 2 Консультации по выполнению СРМ 2	1	
6	Л 6. Генотерапия ненаследственных заболеваний.	1	
	СЗ 6. Генная терапия опухолей	2	10
7	Л 7. Технологии редактирования генов.	1	
	СЗ 7. Сравнение генно-инженерных методов и технологии редактирования генома.	2	10
	СРМ 2. Моногенные заболевания человека и их типы. Аутосомно-рецессивные заболевания. Аутосомно-доминантные заболевания. Молекулярно-генетическая характеристика.	2	15
	СРМП 3 Консультации по выполнению СРМ 3	1	
8	Л 8. Редактирование геномов с помощью ZFN и TALEN.	1	
	СЗ 8. Некоторые этические и социальные проблемы генной терапии.	2	10
	СРМ 3. Стратегии использования методов генотерапии для лечения заболеваний: Болезнь Альцгеймера. Молекулярно-генетическая характеристика заболевания и современные подходы его лечения. Сахарный диабет. Типы диабета и их молекулярно-генетическая характеристика. Молекулярно-генетическая основа "митохондриальных заболеваний" человека.	2	20

Рубежный контроль 1

МОДУЛЬ 2 Возможности использования CRISPR для лечения генетических заболеваний		100
9	Л 9. Технология редактирования генома CRISPR Cas. CRISPR/Cas системы прокариот. Преимущества технологии CRISPR/Cas.	1
	СЗ 9. Редактирование геномов с помощью CRISPR/Cas технологии. Формы доставки компонентов CRISPR/Cas в живые клетки.	2
	СРМП 4. Консультация по выполнению СРМ 4.	1
10	Л 10. Белки Cas, используемые в протоколах редактирования геномов. Формы доставки компонентов CRISPR/Cas в живые клетки.	1
	СЗ 10. Редактирование геномов с помощью CRISPR/Cas технологии. Формы доставки компонентов CRISPR/Cas в живые клетки	2
	СРМ 4. Стратегии использования методов генотерапии для лечения заболеваний: Астма. Молекулярно-генетическая характеристика. ВИЧ-инфекция. Молекулярно-генетическая характеристика ВИЧ. Сцепленные с полом рецессивные заболевания. Молекулярно-генетическая характеристика.	2
	СРМП 5. Консультация по выполнению СРМ 5.	1
11	Л 11. Дизайн эксперимента по геномному редактированию CRISPR/Cas.	1
	СЗ 11. . Способы доставки компонентов CRISPR/Cas в живые системы. Методы анализа результатов редактирования геномов.	2
	СРМ 5. Стратегии использования методов генотерапии для лечения заболеваний: Сахарный диабет. Типы диабета и их молекулярно-генетическая характеристика. Молекулярно-генетическая основа "митохондриальных заболеваний" человека. Астма. Молекулярно-генетическая характеристика. ВИЧ-инфекция. Молекулярно-генетическая характеристика ВИЧ. CRISPR/Cas технологии в редактировании генома.	2
12	Л12. Модификация генома млекопитающих системой CRISPR/Cas9.	1
	СЗ 1Создание трансгенных животных с использованием системы CRISPR/Cas9	2
13	Л 13. Испытания возможностей использования CRISPR для лечения генетических заболеваний	1
	СЗ 13. Болезни, вылеченные или облегченные при помощи редактирования на модельных животных	2
14	Л 14. Редактирование эмбрионов человека. CRISPR в клинических испытаниях.	1
	СЗ 14. Геномное редактирование человека.	2
15	Л 15. Возможности совмещения технологий CRISPR/Cas и стволовых клеток	1
	СЗ 15. CRISPR в клинических испытаниях. Перспективы применения методов редактирования генома в генной терапии при лечении заболеваний человека.	2
	СРМП 6. Консультация по итоговому экзамену	1
Рубежный контроль 2		100
Итоговый контроль (экзамен)		100
ИТОГО за дисциплину		100

Декан _____ Курманбаева М.С.
 Председатель Академического
 Комитета по качеству
 преподавания и обучения _____ Бегельбаева Л.К.
 Заведующий кафедрой _____ Жунусбаева Ж.К.
 Лектор _____ Амирова А.К.



РУБРИКАТОР СУММАТИВНОГО ОЦЕНИВАНИЯ

КРИТЕРИИ ОЦЕНИВАНИЯ РЕЗУЛЬТАТОВ ОБУЧЕНИЯ

Пример 1. Групповая презентация «Применение стволовых клеток в генной терапии. Классификация наследственных заболеваний человека и стратегии использования методов генотерапии для их лечения» (30% от 100% РК)

Критерий	«Отлично» 25-30%	«Хорошо» 20-20%	«Удовлетворительно» 15-20%	«Неудовлетворительно» 1– 15%	«Неудовлетворительно» 0%
Понимание теорий, концепций и технологий, используемых в области генной инженерии.	Глубокое понимание теорий, концепций и технологий, используемых в области генной инженерии.	Понимание теорий, концепций и технологий, используемых в области генной инженерии.	Ограниченное понимание теорий, концепций и технологий, используемых в области генной инженерии.	Поверхностное понимание теорий, концепций и технологий, используемых в области генной инженерии.	Не выполнение задания / отсутствие понимания темы.
Осведомленность о современных методах анализа генома и конструирования рекомбинантной ДНК.	Отличное знание методов генной терапии.	Присутствует осведомленность о методах генного редактирования. Анализ аргументирован и подкреплен доказательствами теоретических и практических исследований.	Ограниченная осведомленность о методах анализа генетических последовательностей. Ограниченный анализ темы, слабо подкреплен доказательствами теоретического и практических исследований	Незначительное осведомленность о методах генотерапии. Мало теоретических и практических Исследования.	Не выполнение задания / отсутствие понимания темы.
Пилотное исследование	Отличное использование результатов пилотных исследований в презентации	Хорошее использование результатов пилотных исследований в презентации.	Удовлетворительное использование результатов пилотных исследований в презентации.	Плохое использование результатов пилотных исследований в презентации.	Не выполнение задания / отсутствие понимания темы.
Определение области практического применения/ рекомендаций	Очень хорошо владеет методами генотерапии и способен применять свои знания на практике.	Хорошо владеет некоторыми методами и может использовать их на практике.	Ограниченные знания о методах генетической инженерии, применяемых на практике.	Мало знает о методах генетической инженерии, применяемых на практике.	Не выполнение задания/ отсутствие понимания темы.
Презентация, командная работа	Отличная, привлекательная презентация, отличное качество визуальных эффектов, слайдов, материалов, отличная командная работа.	Хорошая вовлеченность, хорошее качество визуальных эффектов, слайдов или других материалов, хороший уровень командной работы.	Удовлетворительный уровень вовлеченности, удовлетворительное качество материалов, удовлетворительный уровень командной работы.	Низкий уровень вовлеченности, низкое качество материалов, плохой уровень командной работы.	Отсутствие презентации и выступления.

Декан _____ Курманбаева М.С.

Председатель Академического Комитета по качеству преподавания и обучения _____ Бактыбаева Л.К.

Заведующий кафедрой _____ Кунусбаева Ж.К.

Лектор _____ Амирова А.К.

