

课程详述

COURSE SPECIFICATION

以下课程信息可能根据实际授课需要或在课程检讨之后产生变动。如对课程有任何疑问，请联系授课教师。

The course information as follows may be subject to change, either during the session because of unforeseen circumstances, or following review of the course at the end of the session. Queries about the course should be directed to the course instructor.

1.	课程名称 Course Title	基因编辑与基因治疗 Molecular Genetics and Gene therapy
2.	授课院系 Originating Department	医学院 School of Medicine
3.	课程编号 Course Code	MED116
4.	课程学分 Credit Value	3
5.	课程类别 Course Type	任选课 Free Elective
6.	授课学期 Semester	秋季/ Fall
7.	授课语言 Teaching Language	中英双语 English & Chinese
8.	授课教师、所属学系、联系方式 Instructor(s), Affiliation & Contact (For team teaching, please list all instructors)	贾宁, 医学院, jian@sustech.edu.cn; Ning Jia, School of Medicine, jian@sustech.edu.cn
9.	实验员/助教、所属学系、联系方式 Tutor/TA(s), Contact	
10.	选课人数限额(可不填) Maximum Enrolment (Optional)	

11. 授课方式 Delivery Method	讲授 Lectures	习题/辅导/讨论 Tutorials	实验/实习 Lab/Practical	其它(请具体注明) Other (Please specify)	总学时 Total
学时数 Credit Hours	48	0	0	0	48
12. 先修课程、其它学习要求 Pre-requisites or Other Academic Requirements					
13. 后续课程、其它学习规划 Courses for which this course is a pre-requisite	待定/To be determined				
14. 其它要求修读本课程的学系 Cross-listing Dept.	待定/To be determined				

教学大纲及教学日历 SYLLABUS

15. 教学目标 Course Objectives

We are now living in a world in which we can alter our DNA. Gene therapy is now a thing, and gene editing is in clinical trials. Would you like to learn how this is done and where it's going? This course is intended to provide an overview of the basis and use of gene therapy, and CRISPR/Cas gene editing. Topics to be covered will include an introduction to the human genome, how genes control our life, what cause genetic diseases and how recent advances have enabled scientists to attempt to fix genetic diseases. Anyone curious about what information is in the human genome and how that information might be used to improve public health is welcomed to attend.

我们现在生活在一个可以改变自身 DNA 的时代。基因治疗就是其中一种方式，其中，基因编辑已经走向临床试验。你了解基因治疗是怎么回事以及将来的发展趋势如何吗？这个课将带你了解基因治疗和基因编辑的生物学基础以及相关医学应用。其中包含对基因组的基本介绍，基因是如何掌控你的日常生活、什么原因导致了遗传疾病、以及对遗传疾病最新的基因治疗手段。任何对于基因组以及如何利用基因组信息来服务人类健康感兴趣的同学都欢迎选修该门课。

16. 预达学习成果 Learning Outcomes

1. Account for structure, formation and function of DNA, RNA and proteins
2. Understand the principles of gene regulation in prokaryotic and eukaryotic cells
3. Describe the consequences of different types of mutations and DNA-repair systems
4. Describe basic principles for getting nucleic acids into cells
5. Know biological principles and modern approaches for the use of CRISPR-Cas genome engineering technologies
6. Know inherited and acquired diseases that could benefit from gene therapy.
 1. 掌握 DNA、RNA 和蛋白质的结构、形成以及功能
 2. 掌握真核和原核生物的基因调控原理
 3. 理解 DNA 突变以及 DNA 修复系统的分子机理

4. 理解将核酸递送到细胞的基本原理
5. 了解 CRISPR-Cas 系统作为新型基因编辑工具的原理和应用
6. 了解基因治疗可以用于先天和后天多种疾病的治疗

17. 课程内容及教学日历（如授课语言以英文为主，则课程内容介绍可以用英文；如团队教学或模块教学，教学日历须注明主讲人）

Course Contents (in Parts/Chapters/Sections/Weeks. Please notify name of instructor for course section(s), if this is a team teaching or module course.)

Gene editing and Gene therapy: How Genes Control You and How You Can Control Them?

基因编辑与基因治疗：基因如何控制你和你如何控制他们？

Part I: How Genes Control You?

第一部分：基因如何控制你？

1. Genes and Chromosomes (total 3 hrs)

基因与染色体（共 3 小时）

1.1 Genes Are DNA and Encode RNAs and Polypeptides (3 hrs)

基因是 DNA 和编码 RNA 和多肽（1 小时）

1.2 Chromosomes (1 hrs)

染色体（1 小时）

1.3 Chromatin (1 hrs)

染色质（1 小时）

2. DNA replication and Recombination (total 6 hrs)

DNA 复制与重组（共 6 小时）

2.1 DNA replication (1 hrs)

DNA 复制（2 小时）

2.2 Homologous and Site-Specific Recombination (2 hrs)

同源重组与位点专一性重组（2 小时）

2.3 Repair systems (2 hrs)

修复系统（2 小时）

3. Transcription and Posttranscriptional Mechanisms (total 4 hrs)

转录与转录后机制（共 4 小时）

3.1 Prokaryotic and Eukaryotic Transcription (1 hrs)

原核生物和真核生物转录（1 小时）

3.2 RNA Splicing and Processing (1 hrs)

RNA 剪切和加工 (1 小时)

3.3 mRNA Stability and Localization (1 hrs)

mRNA 的稳定性与定位 (1 小时)

3.4 Translation (1 hrs)

翻译 (1 小时)

4. Gene Regulation (total 3 hrs)

基因调控 (共 3 小时)

4.1 Prokaryotic and Eukaryotic Transcription Regulation (1 hrs)

原核和真核生物转录调控 (1 小时)

4.2 Epigenetics (1 hrs)

表观遗传 (1 小时)

4.3 Regulatory RNA (1 hrs)

调节 RNA (1 小时)

Part II: How You Can Control Them?

第二部分：你如何控制他们？

5. Gene Editing (total 9 hrs)

基因编辑 (共 9 小时)

6.1 The Basis of Gene Editing (3 hrs)

基因编辑的基础 (3 小时)

6.2 Programmable Nucleases Used in Gene Editing (3 hrs)

基因编辑所用的核酸酶 (3 小时)

6.3 Expanding the possibilities of Gene Editing (3 hrs)

基因编辑的衍生应用 (3 小时)

6. Gene Therapy (total 9 hrs)

基因治疗 (共 9 小时)

5.1 The concepts of Gene therapy (3 hrs)

基因治疗的概念 (3 小时)

5.2 Types of Gene Therapy (3 hrs)

基因治疗的种类 (3 小时)

5.3 Gene Therapy Strategies (3 hrs)

基因治疗的方法 (3 小时)

7. Gene Delivery (total 5 hrs)

基因递送 (共 5 小时)

7.1 Delivery Systems (2.5 hrs)

递送系统 (2.5 小时)

7.2 Barriers to Gene Delivery (2.5 hrs)

递送的主要障碍 (2.5 小时)

8. Gene Therapy Applications (total 9 hrs)

基因治疗的应用 (共 9 小时)

8.1 Preclinical Studies and Clinical Trials (3 hrs)

临床前研究和临床试验 (3 小时)

8.2 Gene Therapy for different human Diseases (3 hrs)

针对不同人类疾病的基因治疗 (3 小时)

8.3 Ethical Questions and Future Prospects about Gene Therapy (3 hrs)

基因治疗的伦理问题和未来发展 (3 小时)

Section	Topic	Hours
Section 1	Genes and Chromosomes 基因与染色体	3
Section 2	DNA replication and Recombination DNA 复制与重组	6
Section 3	Transcription and Posttranscriptional Mechanisms 转录与转录后机制	4
Section 4	Gene Regulation 基因调控	3
Section 5	Gene Editing 基因编辑	9
Section 6	Gene Therapy 基因治疗	9
Section 7	Gene Delivery 基因递送	5
Section 8	Gene Therapy Applications 基因治疗的应用	9

18. 教材及其它参考资料 Textbook and Supplementary Readings

参考书:

- 1、Jocelyn E. Krebs, <Lewin's GENES XII> Jones & Bartlett Learning, LLC, an Ascend Learning Company, 2018
- 2、Kiran Musunuru. <Genome editing: a practical guide to research and clinical applications> London : Academic Press, 2021.
- 3、Clévio Nóbrega, Liliana Mendonça, Carlos A. Matos, < A Handbook of Gene and Cell Therapy> Springer Nature Switzerland AG. 2020

课程评估 ASSESSMENT

19. 评估形式 Type of Assessment	评估时间 Time	占考试总成绩百分比 % of final score	违纪处罚 Penalty	备注 Notes
出勤 Attendance		20		
课堂表现 Class Performance		20		
小测验 Quiz				
课程项目 Projects				
平时作业 Assignments		30		
期中考试 Mid-Term Test				
期末考试 Final Exam				
期末报告 Final Presentation		30		
其它 (可根据需要 改写以上评估方式) Others (The above may be modified as necessary)				

20. 记分方式 GRADING SYSTEM

- A. 十三级等级制 Letter Grading
 B. 二级记分制 (通过/不通过) Pass/Fail Grading

课程审批 REVIEW AND APPROVAL

21. 本课程设置已经过以下责任人/委员会审议通过
This Course has been approved by the following person or committee of authority

本课程已经医学院分管教学副院长张文勇教授审核通过。