**Metodologia tworzenia nowego leku biotechnologicznego**

**Kierownik przedmiotu: prof. dr hab. n. med. Piotr Rieske**

**Pytania na egzamin dyplomowy**

1. Czym różni się zasada działania leków przeciwnowotworowych w przypadku mutacji genów kodujących białka powierzchniowe i białka podbłonowe?
2. W jaki sposób można ocenić skuteczność działania cząsteczki o potencjale przeciwnowotworowym?
3. Jakie wyróżniamy typy szczepionek i czym się one charakteryzują?
4. Czym są leki biologiczne? Podaj 3 przykłady takich leków.
5. Opisz możliwości terapeutycznego zastosowanie indukowanych pluripotentnych komórek macierzystych (iPSC).
6. Wymień 3 elementy wchodzące w skład systemu CRISPR. Dlaczego sekwencja PAM jest ważna i jakie powoduje ograniczenia zastosowania CRISPR?
7. Jakie może być zastosowanie CRISPR?
8. W jaki sposób otrzymywane są komórki CAR-T oraz jaki jest mechanizm ich działania?
9. Czy szczepionki mRNA to Twoim zdaniem produkt bardziej biotechnologiczny czy chemiczny? Uzasadnij swoją opinię.
10. Czy „dowstreamowe” zablokowanie aktywności białka w stosunku do receptora takiego jak EGFR będzie zawsze w 100% efektywne? Odpowiedź uzasadnij.
11. Dlaczego terapia CAR-T, a nie edycja genomu znajduje szybciej zastosowanie w medycynie?
12. Jakie są różnica przy stosowaniu edycji genomu w chorobach recesywnych w stosunku do dominujących .
13. Podaj etapy badań niezbędne podczas projektowania drobnocząsteczkowego inhibitora o potencjale przeciwnowotworowym.
14. Kiedy i w jakim celu stosowana jest technika Gateway (technika bramkowania)?
15. Jaką technikę wybrałbyś/wybrałabyś do sprawdzenia ekspresji białka w badanych komórkach? Krótko opisz tą metodę.
16. Uważasz że terapia genowa czy edycja genomu ma większe szanse na znalezienie zastosowania w medycynie? Odpowiedź uzasadnij.
17. Czy zmiana kodonu na kodon kodujący ten sam aminokwas będzie miał wpływ na konformację powstałego białka? Odpowiedź uzasadnij.
18. Dlaczego choroba taka jaka anemia sierpowatokrwinkowa, a nie mukowiscydoza a tym bardziej choroba Taya-Sachsa jest przedmiotem pierwszych terapii z zastosowaniem edycji genomu?
19. Jakie znasz metody oczyszczania białek? Krótko je scharakteryzuj.
20. W jaki sposób otrzymuje się przeciwciała monoklonalne?