

Отзыв на автореферат диссертации Немудрого Артёма Александровича «Исправление мутации в гене аргинин-вазопрессина крыс линии Brattleboro in vitro», представленной на соискание учёной степени кандидата биологических наук по специальности 03.02.07-генетика.

Данная работа является удачным примером использования CRISPR/Cas9 системы в разработке технологии терапии наследственных заболеваний человека с помощью редактирования генома. Большой интерес представляет созданная диссертантом коллекция генетических конструкций, экспрессирующих элементы системы CRISPR/Cas9, для внесения разрывов в различные участки целевого локуса.

Авторы наткнулись на неспецифичность к PAM участку, когда вместо стандартного NGG, SpCas9 распознает NAG, и есть вариант SpCas9, у которого примерно в два раза хуже распознается NAG PAM. Не исключая, что NAG не единственная проблема, которая привела к понижению эффективности редактирования путем гомологичной рекомбинации.

Интересно в будущем посмотреть какова структура хроматина в области, где диссертант редактировал геном. Разработанная Немудрым стратегия, позволяет вносить двуцепочечные разрывы во второй экзон гена аргинин-вазопрессина, не оказывая нецелевого эффекта в паралогичном гене.

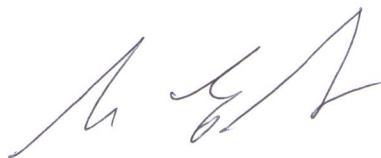
В целом работа Немудрого Артёма Александровича производит самое хорошее впечатление. Полученные результаты имеют как практическое, так

и фундаментальное значение, а сама диссертант является сложившимся высококвалифицированным и самостоятельным исследователем.

Работа является законченным научно-квалификационным исследованием, отличающимся новизной и имеющим практическую ценность. Диссертация Немудрого Артема Александровича "Исправление мутации в гене аргинин-вазопрессина крыс линии Brattleboro *in vitro*" соответствует требованиям п. 9, абзац 2 «Положения о присуждении учёных степеней», а ее автор заслуживает присуждения ученой степени кандидата биологических наук по специальности 03.02.07 – генетика.

Евгеньев М.Б.

Доктор Биологических Наук,



Профессор, Зав. лаб. Молекулярных Механизмов

Биологической Адаптации ИМБ РАН

Москва, 119991, ул.Вавилова, 32

E.mail-Misha672011@yahoo.com

Сл. Тел. 8-499-1359768.

bx 2171/118
07.11.2017

