

Отзыв

на автореферат диссертационной работы Валетдиновой К.Р. «Получение модельной системы спинальной мышечной атрофии на основе индуцированных плюрипотентных стволовых клеток человека», представленной на соискание ученой степени кандидата биологических наук по специальности 03.02.07 - генетика.

Интерес эмбриологов, молекулярных биологов и генетиков к исследованию эмбриональных стволовых клеток привел к созданию индуцированных плюрипотентных стволовых клеток (ИПСК), что открывает широкие возможности в теоретических и экспериментальных исследованиях проблем дифференцировки в онтогенезе и в генотерапии наследственных заболеваний.

Актуальность исследования определяется тем, что для многих нейродегенеративных заболеваний человека нет аналогов у модельных животных объектов (нематода, дрозофила, *Danio rerio*, мышь). На генетическом и фенотипическом уровнях подобные модели не соответствуют тому, например, что наблюдается при СМА у человека. Спинальная мышечная атрофия (СМА) объединяет группу наследственных заболеваний, отличительной особенностью которых является прогрессирующая дегенерация периферических моторных нейронов, что приводит к развитию симметричного вялого паралича поперечно-полосатой мускулатуры.

В представленной работе получена новая модельная система, состоящая из ИПСК пациентов со СМА I и II типов и здорового человека. При этом репрограммирование к плюрипотентному состоянию осуществлено с помощью эписомных векторов. Плюрипотентный статус полученных клеточных линий был подтвержден с помощью целого ряда тестов, включая формирование тератом – аналог строгого теста на химеризм, который невозможно провести для плюрипотентных клеток человека. Эта модель послужит основой для исследования особенностей данного заболевания на молекулярном и клеточном уровнях, а также для разработки высокоэффективных и безопасных методов исправления мутаций, вызывающих СМА, и скрининга больших панелей потенциальных лекарственных соединений.

В работе использован широкий набор молекулярно-генетических, эмбриологических и цитогенетических методов. Выводы полностью отражают экспериментальный материал

Теоретическая и практическая значимость исследования не вызывает сомнений. Полученная в данной работе модельная система может быть использована для комплексного изучения молекулярно-генетических и

клеточных механизмов развития спинальной мышечной атрофии, проведения фармакологических и токсикологических исследований.

На основании вышеизложенного можно заключить, что диссертационная работа Валетдиновой К.Р. «Получение модельной системы спинальной мышечной атрофии на основе индуцированных плюрипотентных стволовых клеток человека», отвечает все требованиям «Положения о присуждении ученых степеней», предъявляемым к такого рода исследованиям, а ее автор заслуживает присуждения ученой степени кандидата биологических наук по специальности 03.02.07 - генетика.

Асланян Марлен Мкртичович,

доктор биологических наук, профессор.

Профессор кафедры генетики биологического факультета

Работает в Государственном учебно-научном учреждении Биологический факультет Московского государственного университета им.М.В. Ломоносова.

119991, Российская федерация, г. Москва. Ленинские горы д.1, Московский государственный университет им. М.В. Ломоносова, строение 12, Биологический факультет, кафедра генетики, профессор.

Телефон: 8(495) 939 42 56(сл), E. mail: marlen32@mail.ru

25.11.2016 г.

Подпись

ПОДПИСЬ РУКИ
ЗАВЕРЯЮ

Документ заверен биологическим факультетом МГУ



Асланянка М.М.