

## ОТЗЫВ

на автореферат диссертации Валетдиновой Камилы Робертовны «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

Диссертационная работа Валетдиновой К.Р. посвящена разработке модельной системы на основе индуцированных плюрипотентных стволовых клеток человека для исследования спинальной мышечной атрофии.

Актуальность выбранной диссертантом темы не вызывает сомнений. Спинальная мышечная атрофия (СМА) является одним из самых распространенных наследственных нейродегенеративных заболеваний, для которой в настоящее время не существует эффективного лечения. Одним из современных и активно развивающихся подходов для исследования подобных заболеваний является использование клеточных моделей на основе индуцированных плюрипотентных стволовых клеток человека. Поэтому создание адекватной модельной системы СМА с помощью дифференцированных производных пациент-специфичных индуцированных плюрипотентных стволовых клеток (ИПСК) человека представляет большой научный и практический интерес.

Автором получена новая клеточная модель путем репрограммирования фибробластов кожи больных спинальной мышечной атрофией I и II типов и здорового человека с помощью эписомных векторов, а также проведена направленная дифференцировка этих линий ИПСК в моторные нейроны. Для подтверждения адекватности модельной системы соискателем представлено большое количество экспериментальных данных с использованием широкого спектра современных гистохимических, молекулярных и генетических методов исследования.

Представленная автором модельная система спинальной мышечной атрофии имеет большое практическое значение в качестве основы для комплексного изучения молекулярно-генетических механизмов патогенеза этого заболевания, а также проведения фармакологических и токсикологических исследований.

Представленный к рассмотрению автореферат диссертационной работы Валетдиновой К.Р. отражает все этапы исследования и является квалифицированным научным трудом. Корректный анализ достаточного объема проведенных исследований дает достоверное обоснование сделанным

выводам, соответствующим поставленным задачам. Стоит отметить, что автореферат содержит иллюстративный материал высокого качества.

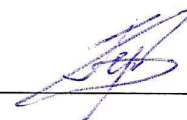
В качестве замечания необходимо отметить следующее:

В представлении работы важно сделать более сильный акцент на новизне и преимуществе полученной автором модельной системы СМА по сравнению с уже известными данными по созданию клеточных линий ИПСК из фибробластов кожи больных спинальной мышечной атрофией (Ebert et al., 2009, Sareen et al., 2012).

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.

Гусев О. А., к.б.н, PhD  
в.н.с, руководитель лаборатории  
Институт Фундаментальной Медицины и Биологии,  
Казанский Федеральный Университет,  
Казань, ул. Кремлевская 18  
[oleg@cryptobio.com](mailto:oleg@cryptobio.com)  
тел: +7 (843) 233-71-09.

Подпись



*Подпись О.А. Гусева завершено*

СЕД. ДОКУМЕНТОВЕД  
Г. А. ЖАКИМОВА

