

ОТЗЫВ

на автореферат диссертации Валетдиновой Камилы Робертовны **«ПОЛУЧЕНИЕ МОДЕЛЬНОЙ СИСТЕМЫ СПИНАЛЬНОЙ МЫШЕЧНОЙ АТРОФИИ НА ОСНОВЕ ИНДУЦИРОВАННЫХ ПЛЮРИПОТЕНТНЫХ СТВОЛОВЫХ КЛЕТОК ЧЕЛОВЕКА»**, представленной на соискание учёной степени кандидата биологических наук по специальности: 03.02.07 – генетика.

Несмотря на то, что использование специфических линий модельных организмов продолжает оставаться важным методом изучения заболеваний человека, такие подходы имеют множество ограничений, которые могут быть преодолены с помощью моделирования болезней на основе индуцированных плюрипотентных стволовых клеток (ИПСК). Использование технологии ИПСК открывает новый этап в моделировании генетических заболеваний. Благодаря возможности получения ИПСК от любого пациента в совокупности с возможностью их дифференцировки практически в любой клеточный тип, модели заболеваний на основе ИПСК потенциально могут быть созданы для любой, даже самой редкой болезни. Способность ИПСК бесконечно пролиферировать и дифференцироваться *in vitro* в детерминированных условиях позволяет такие модели стандартизировать и автоматизировать. Всего за 10 лет использования данной технологии уже достигнут определенный прогресс в моделировании некоторых заболеваний (нейродегенеративных заболеваний, семейной дизавтономии, орфанных заболеваний).

Работа Валетдиновой Камилы Робертовны посвящена получению модельной системы спинальной мышечной атрофии на основе индуцированных плюрипотентных стволовых клеток человека. Автор получила уникальные линии индуцированных плюрипотентных стволовых клеток от пациентов со спинальной мышечной атрофии I, II типа и здорового человека. При этом использовался метод репрограммирования фибробластов кожи людей с помощью эписомных векторов. Плюрипотентный статус полученных клеточных линий был подтвержден с помощью целого ряда тестов, что не дает повода сомневаться в подлинности результатов. Примечательными данными являются то, что полученные линии ИПСК способны к направленной дифференцировке в моторные нейроны.

Полученная модельная система спинальной мышечной атрофии поможет продвинуться в исследовании патогенетических механизмов, приводящих к избирательной гибели двигательных нейронов, может быть использована для скрининга лекарственных препаратов и разработки тактики лечения не только СМА, но и повреждений спинного мозга.

Данная работа выполнена на высоком научном уровне с использованием современных методов исследования. Результаты исследований представлены в рисунках, графиках, сделанные выводы соответствуют поставленной цели и результатам эксперимента. Работа написана четким, грамотным языком,

содержит интересный материал и может быть полезна не только специалистам по генетике, но и широкому кругу биологов и медиков.

Результаты работы докладывались на российских конференциях с международным участием в 2015-2016 гг., по теме диссертации опубликовано пять печатных работ (две статьи в рецензируемых журналах и три тезиса).

Диссертационная работа Валетдиновой К.Р. «Получение модельной системы спинальной мышечной атрофии на основе индуцированных плюрипотентных стволовых клеток человека», отвечает всем 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.

Зав. лаб. регуляции морфогенеза
ИБР РАН
К.б.н.

Симонова О.Б.

Подпись Симоновой О.Б. заверяю

Ученый секретарь
ИБР РАН
К.б.н.



Хабарова М.Ю.

Сведения о составителе отзыва:

Симонова Ольга Борисовна, кандидат биологических наук, заведующая лабораторией регуляции морфогенеза Федерального государственного бюджетного учреждения науки Института биологии развития им. Н.К. Кольцова (ИБР РАН).

Адрес: 119334, Москва, ул. Вавилова 26.

e-mail: osimonova@hotmail.com