

## Posudek na bakalářskou práci

<input type="checkbox"/> školitelský posudek <input checked="" type="checkbox"/> oponentský posudek	<b>Jméno posuzovatele:</b> PharmDr. Lucie Šedová, Ph.D. <hr/> <b>Datum:</b> 16.5.2024
<b>Autor: Pavlína Faltínová</b>	
<b>Název práce:</b> <b>CRISPR/Cas genome editing in human disease models and the translation into therapies</b>	
<input checked="" type="checkbox"/> Práce je literární rešerší ve smyslu zveřejněných požadavků (pravidel). <input type="checkbox"/> Práce obsahuje navíc i vlastní výsledky.	
<b>Cíle práce (předmět rešerše, pracovní hypotéza...)</b> Cílem práce bylo souhrnně popsat možnosti genomové editace využívající systém CRISPR/Cas9 se zaměřením na tvorbu myších modelů, které by mohly být využity pro studium a nalezení terapie vzácných lidských onemocnění.	
<b>Struktura (členění) práce:</b> Práce je logicky rozčleněna do jednotlivých kapitol, které přehledně pokrývají problematiku práce. Kromě obligátních kapitol úvodu a závěru obsahuje práce tyto speciální kapitoly: Kapitola Vzácná onemocnění objasňuje důvody vytváření myších modelů pro tato onemocnění. Kapitola Myší modely stručně objasňuje výhody a úskalí využití myších modelů pro studium lidských onemocnění. Kapitola CRISPR/Cas9 se zabývá popisem jednotlivých komponent systému a principem jeho funkce. Kapitola Genomové editace je nejobsáhlejší a popisuje jednotlivé metody, jejich vývoj, problémy a modifikace (členění do podkapitol Gene knock-out, Gene knock-in, Base editing, Prime editing).	
Jsou použité literární zdroje dostatečné a jsou v práci správně citovány? Použil(a) autor(ka) v rešerši relevantní údaje z literárních zdrojů? Autorka použila v rešerši relevantní údaje z více než 100 literárních zdrojů, které se zabývají buď samotným vývojem metod genomové editace či jejich využitím. Zdroje jsou v práci jednotně a správně citovány, hvězdičkou jsou v seznamu literatury označeny zdroje sekundární.	
Pokud práce obsahuje (nadstandardně) i vlastní výsledky, jsou tyto výsledky adekvátním způsobem získány, zhodnoceny a diskutovány? Práce neobsahuje vlastní výsledky.	
<b>Formální úroveň práce (obrazová dokumentace, grafika, text, jazyková úroveň):</b> Formální úroveň práce je vysoká, práce je napsaná v anglickém jazyce na velmi dobré úrovni, je logicky členěná, nepostrádá ani seznam zkratk s jejich vysvětlením a obsahuje 9 obrázků, z nichž většina nebyla autorkou pouze převzata, ale byla také modifikována. Vzhledem k vysokému počtu popisovaných metod by práce mohla obsahovat více obrázků, které by výstižně shrnuly princip každé popisované metody.	

**Splnění cílů práce a celkové hodnocení:**

Cíle bakalářské práce byly splněny, autorka zpracovala formou literární rešerše velmi obsáhlou tematiku genomové editace pomocí systému CRISPR/Cas9, který je mimo jiné využíván i pro tvorbu myších modelů vzácných lidských onemocnění. Práce je primárně zaměřena na popis jednotlivých metod genomové editace a poukazuje i na jejich výhody či nevýhody ve srovnání s jinými metodami. V práci jsou uvedeny také reprezentativní příklady užití jednotlivých metod se zaměřením na myší modely vzácných onemocnění u lidí. Celkově je na velmi dobré úrovni shrnuto velké množství možností, jak lze CRISPR/Cas9 systém využít při studiu lidských onemocnění na specificky vytvořených myších modelech.

**Otázky a připomínky oponenta:**

1. Současně využívaný CRISPR/Cas9 systém pochází dominantně z bakterie *Streptococcus pyogenes*. Jak u něj vypadá CRISPR-Cas lokus, a jak funguje při imunitní odpovědi?
2. Jakým způsobem se mohou při tvorbě transgenních myších modelů vnášet jednotlivé funkční komponenty CRISPR/Cas9 systému a v jaké fázi vývoje?
3. Ve své práci se zabýváte editací genomu pomocí CRISPR/Cas9 systému na úrovni DNA. Nedávno byla popsána i metoda, která umožňuje cílit i na RNA. Popište, co umožnilo editaci RNA a výhody editace RNA oproti DNA editaci.

**Návrh hodnocení školitele nebo oponenta (bude zveřejněn)**

výborně  velmi dobře  dobře  nevyhověl(a)

Podpis školitele/opponenta:

