

Título: “ARN mensajeros como interruptores sintéticos para purificar células. Ensayos con el microARN-Let7a para el desarrollo de terapias celulares en Diabetes.

Alumno/a: CURTI Lucía Ana

Director/a: Dr. Federico Pereyra Bonnet

Co-director/a: Dr. Rafael Fernández Martin y Dra. Virginia Pasquinelli

Fecha de Defensa: 18/12/2017

RESUMEN

La Diabetes Tipo 1, es una de las enfermedades que más repercuten en la población mundial, y uno de los desafíos que se plantean para su abordaje es el desarrollo de terapias celulares mediante reprogramación celular hasta el fenotipo β pancreático para restituir la masa crítica de esa población en los pacientes. Sin embargo, las células reprogramadas resultantes presentan heterogeneidad, y los métodos de purificación no son eficaces. Intentando resolver esta problemática, Miki y col. (2015) desarrollaron un método de purificación que distingue y separa poblaciones celulares según la actividad de los microARN endógenos, que se denomina ARN interruptores sintéticos. El objetivo de este Trabajo Final de Grado fue diseñar, sintetizar y purificar poblaciones celulares que contengan el miR-Let7a, un microARN relacionado con las células β pancreáticas. Para ello las construcciones de ARN sintético se diseñaron y sintetizaron como ADN y se convirtieron en ARN mediante transcripción *in vitro*. Posteriormente en distintos ensayos se evaluaron su funcionalidad, especificidad y tolerancia. Por último se desarrolló un modelo de simulación de células reprogramadas para probar la purificación *in vitro*. Este proyecto pretende optimizar un método de purificación de células reprogramadas que alcance una eficiencia tal que permita aproximar los trasplantes celulares desde el laboratorio hasta los pacientes con Diabetes.