

Fecha de recepción (Date received):

## BANCO NACIONAL DE LÍNEAS CELULARES (TRONCALES)

National Bank of Stem Cell Lines

### IMPRESO DE SOLICITUD DE REGISTRO Y DEPÓSITO DE UNA LÍNEA iPSC HUMANA

Application Form to Register and Deposit of an human iPSC cell line

FECHA: 14/9/21

#### DOCUMENTOS QUE DEBEN ACOMPAÑAR LA SOLICITUD:

Attached documents:

- ☒ **Copia de la autorización del proyecto en el cual se genera la línea celular, junto con informe favorable del Comité de Ética de la Investigación del centro de procedencia.**  
*A copy of the project authorization in which the cell line is obtained along with a favourable report of the Clinical Research Ethics Committee*
- ☒ **Copia de cualquier publicación científica relacionada con la línea iPS generada.**  
*A copy of any relevant published scientific papers related to the iPS cell line generated*
- ☒ **C. V. del investigador principal (una página; formato libre).**  
*A one page CV for the Principal Investigator*
- ☐ **Número de registro del proyecto**

#### SECCIÓN 1-INFORMACIÓN DE LA MUESTRA ORIGINAL Y DE LA iPS GENERADA.

Section 1-Information of the original cell line and the generated iPS

|                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            |                                                                                                                                                                          |                                                                              |                                                                 |
|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------|
| <b>Nombre de la línea iPSC</b><br><i>Name of the iPSC line:</i>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            | SFC7-iPS                                                                                                                                                                 |                                                                              |                                                                 |
| <b>Nº de registro en el Human Pluripotent Stem Cell Registry (1)</b>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       |                                                                                                                                                                          |                                                                              |                                                                 |
| <b>Muestra original donada. Detallar tipo de célula, tejido de origen y localización anatómica de la muestra biológica de la que se obtiene la línea original. Si son células comerciales, detallar nombre, referencia y distribuidor comercial.</b><br><i>Original sample donated. Detail cell type, tissue of origin and anatomic location of the biological sample from which the original line is obtained. If cells are commercial, detail name, reference and trade distributor.</i> | Fibroblasts de dermis procedentes de biopsia de piel (descripción del paciente en anexo 2).<br><br>Dermal fibroblasts from skin biopsy (patient description in annex 2). |                                                                              |                                                                 |
| <b>Sexo y edad del donante.</b><br><i>Sex and age of the donor</i>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                         | Femenino<br>Female                                                                                                                                                       | 4 años 7 meses<br>4 years 7 months                                           |                                                                 |
| <b>¿El donante tiene alguna patología?</b><br><i>Has the donor any pathological condition?</i>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             | <b>NO</b> <input type="checkbox"/><br>No                                                                                                                                 | <b>SÍ</b> <input checked="" type="checkbox"/> (especificar)<br>Yes (specify) | Sanfilippo C                                                    |
| <b>¿La patología es de origen genético?</b><br><i>Is the pathological condition of genetic origin?</i>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | <b>NO</b> <input type="checkbox"/><br>No                                                                                                                                 | <b>SÍ</b> <input checked="" type="checkbox"/> (especificar)<br>Yes (specify) | Mutaciones en el gen HGSNAT (c.[372-2A>G]+[372-2A>G]) (anexo 2) |

|                                                                                                                                                                                                                                                                                                             |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                         |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Muestra biológica recibida</b><br><i>Biological sample</i>                                                                                                                                                                                                                                               | <b>Fresco</b> <input type="checkbox"/><br><i>Fresh</i> <b>Crioconservado</b> <input checked="" type="checkbox"/><br><i>Cryopreserved</i>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
| <b>Fecha de la donación de la muestra biológica</b><br><i>Date of donation of the biological sample</i>                                                                                                                                                                                                     | No disponible<br>Not available                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                          |
| <b>Fecha del uso o descongelación</b><br><i>(si congelado)</i><br><i>Date used or thawed (if frozen)</i>                                                                                                                                                                                                    | 2009                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    |
| <b>Identificación celular: Huella genética por análisis de microsatélites/STR/otros marcadores de las células de origen</b><br><i>Cell Identity: Genetic fingerprinting by microsatellite analysis / STR/ other markers of the original cells.</i>                                                          | Sí (anexo 3)<br><br>Yes (annex 3)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       |
| <b>Método utilizado en la generación de la línea iPSC. (Integrativa/ No-integrativa) Especificar factores y plásmidos de reprogramación utilizados.</b><br><i>Method used for the generation of iPSC line (Integrative / Non-integrative)</i><br><i>Specify factors and plasmids used for reprogramming</i> | Generación de las células pluripotentes inducidas (iPSC) a partir de fibroblastos (p5) de un paciente con Síndrome de Sanfilippo C, mediante infección con retrovirus para la expresión de 3 factores de transcripción, SOX2, KLF4 y OCT3/4 (anexo 1).<br><br>Induced pluripotent stem cells (iPSC) were generated from fibroblasts (p5) of a Sanfilippo C patient, by induction with retroviruses to express 3 transcription factors, SOX2, KLF4 and OCT3/4 (annex 1). |
| <b>Condiciones de cultivo de la línea de iPSC generada. (si se describen en publicación, indicar referencia)</b><br><i>iPSC Culture conditions (if they are described in a publication, please indicate the reference)</i>                                                                                  | Support: Matrigel (Corning BV)<br>Culture medium: DMEM-F12 + 20% KnockOut-Serum replacment + 1x GlutaMax + 1x Non-essential amino acids + 10 ng/ul human basic FGF + 55 uM 2-Mercaptoethanol + 1% Penicilin-Streptomycin.                                                                                                                                                                                                                                               |
| <b>Criopreservación de la línea celular (Describir método de congelación/descongelación)</b><br><i>Cryopreservation of the cell line (Describe freezing / thawing method)</i>                                                                                                                               | La congelación de los clumps de colonias se ha realizado en FBS (90%) + DMSO (10%), mediante contenedor de isopropanol a -80°C (-1°C/min). Los viales se han descongelado a 37°C mediante descongelación rápida.<br><br>The clumps of colonies were cryopreserved in FBS (90%) + DMSO (10%), in isopropanol containers at -80°C (-1°C/min). Vials were thawed quickly at 37°C.                                                                                          |
| <b>Pase de la línea celular en el momento del banqueo/registro. (Máximo: Pase 15)</b><br><i>Passage at the time of the banking/registration (Max: Passage 15)</i>                                                                                                                                           | 17                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |

|                                                                                                      |                                                                                                                                |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>¿Ha sido la línea modificada genéticamente?</b><br><i>Has the line been genetically modified?</i> | <b>Sí</b> Yes <input type="checkbox"/> <b>No</b> No <input checked="" type="checkbox"/><br><br>Especificar:<br><i>Specify:</i> |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|

## SECCIÓN 2 RESULTADOS DE LA CARACTERIZACIÓN DE LA LÍNEA iPSC.

Adjuntar resultados (imágenes o gráficos) como anexo

Section 2 iPSC Cell Line characterization results. Attach results (images and graphics) as an annex

| Test de pluripotencia<br><i>Pluripotency test</i>                                                                       | Método<br><i>Method</i>      |              | Nº pase<br><i>Passage n.</i> | Resultado<br><i>Results</i> | Comentarios<br><i>Comments</i> |                                |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------|--------------|------------------------------|-----------------------------|--------------------------------|--------------------------------|
| Se informará de al menos 5 de los siguientes marcadores<br><br><i>At least 5 of the following test will be reported</i> | Oct 4                        | inmunocitoq. | 15                           | +                           | (anexo 1)                      |                                |
|                                                                                                                         | Nanog                        | inmunocitoq. | 15                           | +                           | (anexo 1)                      |                                |
|                                                                                                                         | Sox 2                        | inmunocitoq. | 15                           | +                           | (anexo 1)                      |                                |
|                                                                                                                         | SSEA3                        | inmunocitoq. | 15                           | +                           | (anexo 1)                      |                                |
|                                                                                                                         | SSEA4                        | inmunocitoq. | 15                           | +                           | (anexo 1)                      |                                |
|                                                                                                                         | TRA-1-60                     |              |                              |                             |                                |                                |
|                                                                                                                         | TRA-1-81                     | inmunocitoq. | 15                           | +                           | (anexo 1)                      |                                |
|                                                                                                                         | Fosfatasa. Alk               | actividad.   | 15                           | +                           | (anexo 1)                      |                                |
| Test de diferenciación in vitro<br><i>In vitro differentiation test</i>                                                 | Método<br><i>Method</i>      |              | Marcador<br><i>Marker</i>    | Nº pase<br><i>Passage n</i> | Resultado<br><i>Results</i>    | Comentarios<br><i>Comments</i> |
| Cuerpos embrioides<br><i>Embryoid bodies</i>                                                                            | Ectodermo<br><i>Ectoderm</i> | inmunocitoq. | Tuj1/GFAP                    | 15                          | +/+                            | (anexo 1)                      |
|                                                                                                                         | Mesodermo<br><i>Mesoderm</i> | inmunocitoq. | GATA/ASMA                    | 15                          | +/+                            | (anexo 1)                      |
|                                                                                                                         | Endodermo<br><i>Endoderm</i> | inmunocitoq. | FOXA2/AFP                    | 15                          | +/+                            | (anexo 1)                      |
| Test de diferenciación in vivo<br><i>In vivo differentiation test</i>                                                   | Método<br><i>Method</i>      |              | Marcador<br><i>Marker</i>    | Nº pase<br><i>Passage n</i> | Resultado<br><i>Results</i>    | Comentarios<br><i>Comments</i> |
| Teratomas<br><i>Teratomas</i>                                                                                           | Ectodermo<br><i>Ectoderm</i> | inmunohist.  | Tuj1/GFAP                    | 15                          | +/+                            | (anexo 1)                      |
|                                                                                                                         | Mesodermo<br><i>Mesoderm</i> | inmunohist.  | SOX9/CS                      | 15                          | +/+                            | (anexo 1)                      |
|                                                                                                                         | Endodermo<br><i>Endoderm</i> | inmunohist.  | AFP/FOXA2                    | 15                          | +/+                            | (anexo 1)                      |

|                                                                                                                                                                                                                                                                  |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                          |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Cariotipo (pase)</b><br><i>Karyotype<br/>(passage)</i>                                                                                                                                                                                                        | 46, XX (18). (Anexo 7)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                   |
| <b>Identificación celular:<br/>Huella genética por<br/>análisis de<br/>microsatélites/STR/<br/>otros marcadores de<br/>la línea celular/ Cell<br/>Identity: Genetic<br/>fingerprinting by<br/>microsatellite analysis /<br/>STR/ other cell line<br/>markers</b> | Sí (anexo 3)<br><br>Yes (annex 3)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                        |
| <b>Test de integración)</b><br><i>Integration Test)</i>                                                                                                                                                                                                          | Realizado (anexo 1, Suppl., y anexo 4)<br><br>Performed (annex 1, Suppl., and annex 4)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                   |
| <b>Test de<br/>silenciamiento)</b><br><i>Silencing Test)</i>                                                                                                                                                                                                     | La qRT-PCR evidenció los niveles de expresión de mRNA de marcadores de pluripotencia endógenos y silenciamiento de mRNA de los factores de transcripción exógenos usados para la reprogramación (Figuras 1C y S1B del anexo 1)<br>qRT-PCR showed evidence of mRNA expression of endogenous pluripotency transcription factors while silencing of mRNA expression of exogenous transcription factors used for reprogramming (Figures 1C and S1B, annex 1) |
| <b>Confirmación de la<br/>presencia de la<br/>mutación de las<br/>células de origen</b><br><i>Confirmation of the<br/>mutation in the original<br/>cells</i>                                                                                                     | Mediante PCR y secuenciación de las regiones del gen HGSNAT en las cuales se encuentran las mutaciones, se comprobó la presencia de estas para confirmar el genotipo del paciente (anexo 1, Suppl. y anexo 5)<br><br>By PCR and sequencing of the HGSNAT gene regions where mutations are located, presence of disease-causative mutations was confirmed (annex 1, Suppl. and annex 5)                                                                   |
| <b>Test de micoplasma</b><br><i>Mycoplasma Test</i>                                                                                                                                                                                                              | Negativo por PCR (anexo 6)<br><br>Negative by PCR (annex 6)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |

**SECCIÓN 3**  
*Section 3*

**DATOS DEL DEPOSITANTE**  
*Applicant Details*

|                                                                                                                                                 |                                                                                                                   |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Investigador Principal:</b><br><i>Principal Investigator:</i><br>Prof. Daniel Grinberg Vaisman                                               | <b>Dirección Postal:</b><br><i>Postal address:</i><br>Av. Diagonal 643, E08028, Barcelona                         |
| <b>Centro de Trabajo:</b><br><i>Institution:</i><br>Dept. Genètica, Microbiologia i Estadística, Facultat de Biologia, Universitat de Barcelona | <b>Teléfono (phone):</b> 934 035 716 - 680 134 016<br><b>Fax:</b> (934 034 420<br><b>E-mail:</b> dgrinberg@ub.edu |

**SECCIÓN 4      INFORMACIÓN ADICIONAL (OPCIONAL)**  
*Section 4      Additional information (optional)*

**Otras observaciones o información relevantes** (a juicio del Investigador Principal):

*Other observations or relevant information (to the discretion of the Principal Investigator):*

Debe considerarse también como investigador principal al Dr. Isaac Canals Montferrer (actualmente en la Universidad de Lund, Suecia)

Dr. Isaac Canals (now at Lund University, Sweden) should also be considered principal investigator.

**Otras observaciones o información relevantes** (a rellenar por el BNLC):

*Other comments or relevant information (to be completed by BNLC)*

## SECCIÓN 5 DECLARACIÓN

**Confirmo que la información contenida en estos impresos es cierta y asumo total responsabilidad sobre la misma.**

*I confirm that the information contained in this form is true and I assume total responsibility for it.*

|                                                                                                                                                                                                                        |                                                                                                    |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Firma en Representación del Centro / Signature in Representation of the Centre</b><br><i>(Representante legal del Departamento/Centro)</i><br><i>Legal Representative of the Department/Centre</i>                  | <b>Firma del Investigador Principal</b><br><i>Signature of the Principal Investigator</i>          |
| Fecha/ Date:                                                                                                                                                                                                           | Fecha /Date                                                                                        |
| <b>Nombre y Cargo de la Persona Representante del Centro:</b><br><i>Name and Position of the Person Representing the Centre:</i><br>Prof. Jordi García Fernández, Vicerector de Recerca de la Universitat de Barcelona |                                                                                                    |
| <b>Dirección Postal:</b><br><i>Postal Address:</i><br>Vicerectorat de Recerca, Universitat de Barcelona,<br>Edifici Històric, Pati de Ciències, 1r pis, Gran Via de<br>les Corts Catalanes, 585, 08007 Barcelona       | <b>Teléfono /Telephone:</b> 934 035 512<br><br><b>Fax:</b><br><br><b>E-mail:</b> vr.recerca@ub.edu |

|                                                                                                                                                                                                                                   |                                                                                                   |
|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Firma del responsable de la generación de las iPSC/Centro de generación</b><br><br><i>Signature of the responsible for the iPSC generation/</i><br><i>Generation center</i>                                                    |                                                                                                   |
| Fecha/ Date:                                                                                                                                                                                                                      |                                                                                                   |
| <b>Nombre y Cargo del responsable de la generación:</b><br><i>Name and Position of the responsible for the iPSC generation</i> Angel Raya Chamorro. Director Programa de<br>Medicina Regenerativa de Catalunya. P-CMR [C]         |                                                                                                   |
| <b>Dirección Postal:</b><br><i>Postal Address:</i><br>Institut d'Investigació Biomèdica de Bellvitge.<br>Hospital Duran i Reynals – 3ª planta<br>Gran Via de l'Hospitalet, 199-203<br>08908 L'Hospitalet de Llobregat (Barcelona) | <b>Teléfono /Telephone:</b> 93 3160320<br><br><b>Fax:</b><br><br><b>E-mail:</b> araya@idibell.cat |

## **(1) Instrucciones para la realización del registro de líneas hESC y hiPSC generadas en España en el Human Pluripotent Stem Cell Registry**

Entre en la página web: <https://hpscereg.eu/>

Cree su perfil rellenando el formulario on-line Sign up form. Después de hacer click en Sign up, recibirá el mensaje de confirmación de los datos y se le enviará el correo electrónico de confirmación.

Registro de líneas:

- Register Cell Line> Create a standard cell line name> Generator Institution: Assign an existing institution:  
Introducir: Spanish Stem Cell Bank
- hPSCreg Team <[hpscereg-info@charite.de](mailto:hpscereg-info@charite.de)> le confirmará la asignación de Spanish Stem Cell Bank a su perfil por correo electrónico. En este momento su estado en Dashboard (My institutions) de Applicant cambiará a Registrant para esta institución.
- Volver a Generator Institution> seleccionar en el desplegable Spanish Stem Cell Bank.
- El nombre provisional (Provisional name) debe de empezar por ES.
- En Alternative names introduzca el nombre de la línea con el que se deposita en el BNLC, según las indicaciones de Nomenclatura del BNLC:

<https://www.isciii.es/QueHacemos/Servicios/BIOBANCOS/BNLC/Paginas/SolicitudDeposito.aspx>