

ФЕДЕРАЛЬНАЯ СЛУЖБА
ПО ИНТЕЛЛЕКТУАЛЬНОЙ СОБСТВЕННОСТИ(12) **ЗАЯВКА НА ИЗОБРЕТЕНИЕ**

(21)(22) Заявка: 2012147589/10, 04.04.2011

Приоритет(ы):

(30) Конвенционный приоритет:
09.04.2010 US 61/322,422

(43) Дата публикации заявки: 20.05.2014 Бюл. № 14

(85) Дата начала рассмотрения заявки РСТ на
национальной фазе: 09.11.2012(86) Заявка РСТ:
US 2011/031080 (04.04.2011)(87) Публикация заявки РСТ:
WO 2011/126974 (13.10.2011)Адрес для переписки:
129090, Москва, ул. Б. Спасская, 25, стр.3, ООО
"Юридическая фирма Городиский и Партнеры"

(71) Заявитель(и):

МЕРК ШАРП ЭНД ДОМЭ КОРП. (US)

(72) Автор(ы):

**ААРОНСОН Джеффри Дж. (US),
БАРНЕТТ Стенли Ф. (US),
БАРТЦ Рене (US),
КОЛЕТТИ Стивен Л. (US),
ДЖАДХАВ Васант Р. (US),
МОМОУЗ Аарон А. (US),
ШО Энтони У. (US),
ТЕЛЛЕРС Дэвид М. (US),
ТАКЕР Томас Дж. (US),
ВАН Вэйминь (US),
ЮАНЬ Ю (US)**(54) **НОВЫЕ ОТДЕЛЬНЫЕ ХИМИЧЕСКИЕ СТРУКТУРНЫЕ ЕДИНИЦЫ И СПОСОБЫ ДОСТАВКИ
ОЛИГОНУКЛЕОТИДОВ**

(57) Формула изобретения

1. Модульная композиция, включающая 1) siРНК; 2) один или более линкеров, которые могут быть одинаковыми или отличающимися друг от друга, выбранных из таблицы 1, где линкеры присоединены к siРНК на любом 3' и/или 5' конце; и 3) один или более пептидов, которые могут быть одинаковыми или отличающимися друг от друга, выбранных из последовательностей SEQ ID NOs: 1-59, где пептиды присоединены к линкерам.

2. Модульная композиция по п. 1, где линкеры присоединены к направляющей цепи siРНК на 3' и/или 5' конце.

3. Модульная композиция по п. 1, где линкеры присоединены к сопровождающей цепи с siРНК на 3' и/или 5' конце.

4. Модульная композиция, включающая 1) siРНК; 2) один или более линкеров, которые могут быть одинаковыми или отличающимися друг от друга, выбранных из таблицы 2, где линкеры присоединены к siРНК на любом 3' и/или 5' конце; и 3) один или более пептидов, которые могут быть одинаковыми или отличающимися друг от друга, выбранных из последовательностей SEQ ID NOs: 1-59, где пептиды присоединены к линкерам.

5. Модульная композиция по п. 4, где линкеры присоединены к направляющей цепи siРНК на 3' и/или 5' конце.

6. Модульная композиция по п. 4, где линкеры присоединены к сопровождающей

цепи siРНК на 3' и/или 5' конце.

7. Модульная композиция, включающая 1) siРНК; 2) один или более линкеров, которые могут быть одинаковыми или отличающимися друг от друга, выбранных из таблицы 1, где линкеры присоединены к siРНК на любом 3' и/или 5' конце; и 3) один или более пептидов, которые могут быть одинаковыми или отличающимися друг от друга, выбранных из последовательностей SEQ ID NOs: 28, 29, 33, 36, 40, 50, 51, 52, 53, 54, 55, 56, 57, 58 и 59, где пептиды присоединены к линкерам.

8. Модульная композиция по п. 7, где линкеры присоединены к направляющей цепи siРНК на 3' и/или 5' конце.

9. Модульная композиция по п. 7, где линкеры присоединены к сопровождающей цепи siРНК на 3' и/или 5' конце.

10. Модульная композиция, включающая 1) siРНК; 2) один или более линкеров, которые могут быть одинаковыми или отличающимися друг от друга, выбранных из таблицы 2, где линкеры присоединены к siРНК на любом 3' и/или 5' конце; и 3) один или более пептидов, которые могут быть одинаковыми или отличающимися друг от друга, выбранных из последовательностей SEQ ID NOs: 28, 29, 33, 36, 40, 50, 51, 52, 53, 54, 55, 56, 57, 58 и 59, где пептиды присоединены к линкерам.

11. Модульная композиция по п. 10, где линкеры присоединены к направляющей цепи siРНК на 3' и/или 5' конце.

12. Модульная композиция по п. 10, где линкеры присоединены к сопровождающей цепи siРНК на 3' и/или 5' конце.

A
6
8
5
7
4
1
2
1
0
2
R
U

R
U
2
0
1
2
1
4
7
5
8
9
A