

ФЕДЕРАЛЬНАЯ СЛУЖБА  
ПО ИНТЕЛЛЕКТУАЛЬНОЙ СОБСТВЕННОСТИ

## (12) ЗАЯВКА НА ИЗОБРЕТЕНИЕ

(21)(22) Заявка: 2020121390, 28.11.2018

Приоритет(ы):

(30) Конвенционный приоритет:  
30.11.2017 ЕР 17204746.6

(43) Дата публикации заявки: 30.12.2021 Бюл. № 1

(85) Дата начала рассмотрения заявки РСТ на  
национальной фазе: 30.06.2020(86) Заявка РСТ:  
ЕР 2018/082872 (28.11.2018)(87) Публикация заявки РСТ:  
WO 2019/106027 (06.06.2019)Адрес для переписки:  
129090, Москва, ул. Б. Спасская, 25, стр. 3, ООО  
"Юридическая фирма Городисский и  
Партнеры"

(71) Заявитель(и):

ФРИДРИХ МИШЕР ИНСТИТЮТ ФОР  
БАЙОМЕДИКАЛ РИСЕРЧ (СН)

(72) Автор(ы):

ЮТТНЕР, Жозефин (СН),  
КРОЛЬ, Яцек (СН),  
РОСКА, Ботонд (СН)A  
2020121390  
RU(54) SynP61, ПРОМОТОР, СПЕЦИФИЧЕСКИЙ В ОТНОШЕНИИ КЛЕТОК ПИГМЕНТНОГО  
ЭПИТЕЛИЯ СЕТЧАТКИ ПРИМАТОВ

## (57) Формула изобретения

1. Способ специфической экспрессии экзогенного гена в клетках пигментного эпителия сетчатки примата, причем указанный способ включает стадию доставки выделенной молекулы нуклеиновой кислоты, содержащей последовательность нуклеиновой кислоты под SEQ ID NO:1 или состоящей из нее, или состоящей из последовательности нуклеиновой кислоты из по меньшей мере 1500 п. о., характеризующейся по меньшей мере 80% общей идентичностью с указанной последовательностью под SEQ ID NO:1, в клетки пигментного эпителия сетчатки указанного примата, где указанная выделенная молекула нуклеиновой кислоты приводит к специфической экспрессии экзогенного гена в клетках пигментного эпителия сетчатки приматов, если последовательность нуклеиновой кислоты, кодирующая указанный экзогенный ген, функционально связана с указанной выделенной молекулой нуклеиновой кислоты.

2. Способ по п. 1, где указанная выделенная молекула нуклеиновой кислоты дополнительно содержит минимальный промотор, например, минимальный промотор под SEQ ID NO:2.

3. Способ по п. 1 или 2, где указанная выделенная молекула нуклеиновой кислоты является частью кассеты экспрессии.

4. Способ по п. 3, где указанная кассета экспрессии является частью вектора.

5. Способ по п. 4, где указанный вектор представляет собой вирусный вектор.

R U  
2 0 2 0 1 2 1 3 9 0  
A

6. Применение выделенной молекулы нуклеиновой кислоты, содержащей последовательность нуклеиновой кислоты под SEQ ID NO:1 или состоящей из нее, или состоящей из последовательности нуклеиновой кислоты из по меньшей мере 1500 п. о., характеризующейся по меньшей мере 80% общей идентичностью с указанной последовательностью под SEQ ID NO:1, где указанная выделенная молекула нуклеиновой кислоты приводит к специфической экспрессии экзогенного гена в клетках пигментного эпителия сетчатки приматов, если последовательность нуклеиновой кислоты, кодирующая указанный экзогенный ген, функционально связана с указанной выделенной молекулой нуклеиновой кислоты, для специфической экспрессии экзогенного гена в клетках пигментного эпителия сетчатки примата.

7. Применение по п. 6, где указанная выделенная молекула нуклеиновой кислоты дополнительно содержит минимальный промотор, например, минимальный промотор под SEQ ID NO:2.

8. Применение по п. 6 или 7, где указанная выделенная молекула нуклеиновой кислоты является частью кассеты экспрессии.

9. Применение по п. 8, где указанная кассета экспрессии является частью вектора.

10. Применение по п. 9, где указанный вектор представляет собой вирусный вектор.

11. Выделенная молекула нуклеиновой кислоты, содержащая последовательность нуклеиновой кислоты под SEQ ID NO:1 или состоящая из нее, или состоящая из последовательности нуклеиновой кислоты из по меньшей мере 1500 п. о., характеризующейся по меньшей мере 80% общей идентичностью с указанной последовательностью под SEQ ID NO:1, где указанная выделенная молекула нуклеиновой кислоты приводит к специфической экспрессии экзогенного гена в клетках пигментного эпителия сетчатки приматов, если последовательность нуклеиновой кислоты, кодирующая указанный экзогенный ген, функционально связана с указанной выделенной молекулой нуклеиновой кислоты, для применения при лечении заболевания, ассоциированного с пигментным эпителием сетчатки.

12. Выделенная молекула нуклеиновой кислоты для применения по п. 11, где указанное заболевание, ассоциированное с пигментным эпителием сетчатки, выбрано из группы, состоящей из возрастной макулярной дегенерации, пигментной дистрофии сетчатки, диабетической ретинопатии и гипертрофии пигментного эпителия сетчатки.