

ФЕДЕРАЛЬНАЯ СЛУЖБА  
ПО ИНТЕЛЛЕКТУАЛЬНОЙ СОБСТВЕННОСТИ

## (12) ЗАЯВКА НА ИЗОБРЕТЕНИЕ

(21)(22) Заявка: 2020140209, 21.10.2015

Приоритет(ы):

(30) Конвенционный приоритет:  
21.10.2014 US 62/066,856(62) Номер и дата подачи первоначальной заявки,  
из которой данная заявка выделена:  
2017116353 11.05.2017

(43) Дата публикации заявки: 25.01.2021 Бюл. № 3

Адрес для переписки:

129090, Москва, ул. Б.Спасская, 25, строение 3,  
ООО "Юридическая фирма Городисский и  
Партнеры"(71) Заявитель(и):  
**ЮНИВЕРСИТИ ОФ МАССАЧУСЕТС  
(US)**(72) Автор(ы):  
ГАО, Гуанпин (US),  
СЕ, Цзюнь (US),  
ФЛОТТ, Теренс (US)

## (54) ВАРИАНТЫ РЕКОМБИНАНТНЫХ ААВ И ИХ ПРИМЕНЕНИЯ

## (57) Формула изобретения

1. Выделенный капсидный белок аденоассоциированного вируса (AAV), содержащий последовательность, выбранную из группы, состоящей из: SEQ ID NO: 68-97.
2. Рекомбинантный вектор экспрессии, содержащий последовательность нуклеиновой кислоты, кодирующую выделенный капсидный белок AAV по п.1.
3. Рекомбинантный AAV (rAAV), содержащий выделенный капсидный белок AAV по любому из пп. 1-2.
4. rAAV по п.3, где rAAV содержит по меньшей мере один трансген.
5. rAAV по любому из пп. 3-4, в котором по меньшей мере один трансген представляет собой ген, кодирующий белок.
6. rAAV по любому из пп. 3-4, в котором по меньшей мере один трансген кодирует малую интерферирующую нуклеиновую кислоту.
7. rAAV по п.6, причем малая интерферирующая нуклеиновая кислота представляет собой микроРНК (миРНК).
8. rAAV по любому из пп. 3-7, в котором трансген экспрессирует транскрипт, который содержит по меньшей мере один сайт связывания для миРНК.
9. rAAV по любому из пп. 3-8, в котором трансген содержит тканеспецифический промотор.
10. Композиция для доставки трансгена субъекту, содержащая выделенный капсидный белок AAV по любому из пп. 1-2 или rAAV по любому из пп. 3-9 и фармацевтически приемлемый носитель.
11. Способ доставки трансгена субъекту, включающий введение субъекту rAAV по любому из пп. 3-9, где rAAV инфицирует клетки ткани-мишени субъекта.
12. Способ по п.11, в котором малая интерферирующая нуклеиновая кислота

A  
2020140209  
RUR U  
2 0 2 0 1 4 0 2 0 9  
A

представляет собой миРНК-губку или TUD РНК, которая ингибирует активность по меньшей мере одной миРНК у субъекта.

13. Способ по п.11, в котором миРНК экспрессируется в клетке ткани-мишени.

14. Способ по любому из пп. 11-13, в котором целевая ткань представляет собой ЦНС, печень, селезенку или сердце.

15. Способ по любому из пп. 11-14, в котором связывание с сайтом связывания миРНК ингибирует активность трансгена в ткани, отличной от ткани-мишени, путем гибридизации с сайтом связывания.

16. Способ по любому из пп. 11-15, в котором тканеспецифический промотор представляет собой специфический промотор печень-специфического тироксин-связывающего глобулина (TBG), промотор инсулина, промотор глюкагона, промотор соматостатина, промотор панкреатического полипептида (PPY), промотор синапсина-1 (Syn), промотор креатинкиназы (МСК), промотор десмина млекопитающих (DES), промотор тяжелой цепи а-миозина (а-МНС) или промотор тропонина Т (cTnT) сердца.

17. Способ по любому из пп. 11-16, в котором гrAAV вводят внутривенно, чрескожно, внутриглазно, интракальвально, перорально, внутримышечно, подкожно, интраназально или путем ингаляции.

18. Способ по любому из пп. 11-17, в котором субъектом является человек.

19. Клетка-хозяин, содержащая нуклеиновую кислоту, кодирующую капсидный белок, имеющий последовательность любой из SEQ ID NO: 68-97, где нуклеиновая кислота функционально связана с промотором.

20. Набор для продуцирования rAAV, содержащий контейнер, содержащий рекомбинантный AAV, содержащий выделенный капсидный белок AAV по любому из пп. 1-2.

21. Набор по п.20, в котором контейнер представляет собой шприц.