



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.Спаская, 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 AAV 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

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 (MCK), промотор десмина млекопитающих (DES), промотор тяжелой цепи α -миозина (α -MHC) или промотор тропонина Т (cTnT) сердца.

17. Способ по любому из пп. 11-16, в котором гAAV вводят внутривенно, чрескожно, внутриглазно, интратекально, 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 гAAV, 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.

RU 2020140209 A

RU 2020140209 A