

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

(21)(22) Заявка: 2020121408, 28.11.2018

Приоритет(ы):

(30) Конвенционный приоритет:
30.11.2017 EP 17204750.8

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

(85) Дата начала рассмотрения заявки РСТ на
национальной фазе: 30.06.2020(86) Заявка РСТ:
EP 2018/082880 (28.11.2018)(87) Публикация заявки РСТ:
WO 2019/106035 (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 ИНСТИТУТ ФОР
БАЙОМЕДИКАЛ РИСЕРЧ (СН)**

(72) Автор(ы):

**ЮТТНЕР, Жозефин (СН),
КРОЛЬ, Яцек (СН),
РОСКА, Ботонд (СН)**(54) **ПРОМОТОР SynPPI для СПЕЦИФИЧЕСКОЙ ЭКСПРЕССИИ ГЕНОВ В ПИГМЕНТНОМ
ЭПИТЕЛИИ СЕТЧАТКИ**

(57) Формула изобретения

1. 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 1000 п. о., на по меньшей мере 80% идентичной указанной последовательности под SEQ ID NO:1, где указанная выделенная молекула нуклеиновой кислоты обеспечивает специфическую экспрессию гена в клетках пигментного эпителия сетчатки, если последовательность нуклеиновой кислоты, кодирующая указанный ген, функционально связана с указанной выделенной молекулой нуклеиновой кислоты.

2. Выделенная молекула нуклеиновой кислоты по п. 1, дополнительно содержащая минимальный промотор, например, минимальный промотор под SEQ ID NO:2.

3. Выделенная молекула нуклеиновой кислоты, содержащая последовательность, которая гибридизуется в жестких условиях с выделенной молекулой нуклеиновой кислоты по п. 1 или 2.

4. Кассета экспрессии, содержащая в качестве элемента, обеспечивающего экспрессию генов в специфических клетках, выделенную нуклеиновую кислоту по п. 1 или 2, где указанная выделенная нуклеиновая кислота функционально связана с по меньшей мере последовательностью нуклеиновой кислоты, кодирующей ген, подлежащий специфической экспрессии в клетках пигментного эпителия сетчатки.

5. Вектор, содержащий кассету экспрессии по п. 4.
6. Вектор по п. 5, где указанный вектор представляет собой вирусный вектор.
7. Применение нуклеиновой кислоты по п. 1 или 2, кассеты экспрессии по п. 4 или вектора по п. 5 для экспрессии гена в клетках пигментного эпителия сетчатки.
8. Способ экспрессии гена в клетках пигментного эпителия сетчатки, включающий стадии осуществления трансфекции выделенной клетки, линии клеток или популяции клеток кассетой экспрессии по п. 4, где ген, подлежащий экспрессии, будет специфически экспрессироваться выделенной клеткой, линией клеток или популяцией клеток, если указанная клетка относится к клеткам пигментного эпителия сетчатки или указанные клетки предусматривают их наличие.
9. Выделенная клетка, содержащая кассету экспрессии по п. 4 или вектор по п. 5.
10. Клетка по п. 9, где кассета экспрессии или вектор стабильно интегрированы в геном указанной клетки.
11. Выделенная молекула нуклеиновой кислоты по п. 1 или 2, кассета экспрессии по п. 4, вектор по п. 5, применение по п. 7, способ по п. 8 или клетка по п. 9, где продукт гена представляет собой светочувствительную молекулу, например, галородопсин или канальный родопсин.
12. Набор для экспрессии гена в клетках пигментного эпителия сетчатки, содержащий выделенную молекулу нуклеиновой кислоты по п. 1 или 2.