



ФЕДЕРАЛЬНАЯ СЛУЖБА
ПО ИНТЕЛЛЕКТУАЛЬНОЙ СОБСТВЕННОСТИ

(12) **ЗАЯВКА НА ИЗОБРЕТЕНИЕ**

(21)(22) Заявка: 2021134920, 27.05.2016

Приоритет(ы):

(30) Конвенционный приоритет:
29.05.2015 US 62/168,309(62) Номер и дата подачи первоначальной заявки,
из которой данная заявка выделена:
2017144862 20.12.2017

(43) Дата публикации заявки: 15.04.2022 Бюл. № 11

Адрес для переписки:

197101, Санкт-Петербург, а/я 128, "АРС-
ПАТЕНТ"

(71) Заявитель(и):

**ДЗЕ ТРАСТИЗ ОФ ДЗЕ ЮНИВЕРСИТИ
ОФ ПЕНСИЛЬВАНИЯ (US)**

(72) Автор(ы):

**ЯН, Сяолу (US),
ГО, Лили (US)**(54) **КОМПОЗИЦИИ И СПОСОБЫ ДЕГРАДАЦИИ НЕПРАВИЛЬНО УПАКОВАННЫХ БЕЛКОВ**(57) **Формула изобретения**

1. Композиция для лечения или профилактики заболевания или нарушения, ассоциированного с неправильно упакованным белком или белковыми агрегатами, причем указанная композиция содержит изолированный пептид, содержащий человеческий TRIM11 или изолированную молекулу нуклеиновой кислоты, кодирующую человеческий TRIM11, при этом указанное заболевание или нарушение представляет собой нейродегенеративное заболевание или нарушение.

2. Композиция по п. 1, где указанное нейродегенеративное заболевание или нарушение выбрано из группы, состоящей из спиноцеребеллярной атаксии (SCA) типа 1 (SCA1), SCA2, SCA3, SCA6, SCA7, SCA17, болезни Хантингтона, дентаторубро-паллидолюисовой атрофии (DRPLA), болезни Альцгеймера, болезни Паркинсона, бокового амиотрофического склероза (ALS), трансмиссивной губчатой энцефалопатии (прионное заболевание), тауопатии и лобно-височной дегенерации (FTLD).

3. Композиция по п. 1, где изолированная молекула нуклеиновой кислоты содержит вектор на основе аденоассоциированного вируса (AAV).

4. Композиция по п. 3, где AAV вектор включает AAV9 вектор.

5. Способ лечения или профилактики заболевания или нарушения, ассоциированного с неправильно упакованным белком или белковыми агрегатами, у субъекта, нуждающегося в этом, причем указанный способ включает введение субъекту композиции по п. 1, при этом указанное заболевание или нарушение представляет собой нейродегенеративное заболевание или нарушение.

6. Способ по п. 5, где указанный способ включает введение композиции по меньшей мере в одну нервную клетку субъекта.

7. Композиция для лечения или профилактики заболевания или нарушения, ассоциированного с деградацией функционального мутантного белка, причем указанная

композиция содержит изолированный пептид, содержащий человеческий TRIM11 или изолированную молекулу нуклеиновой кислоты, кодирующую человеческий TRIM11, при этом указанное заболевание или нарушение представляет собой муковисцидоз.

8. Способ лечения или профилактики заболевания или нарушения, ассоциированного с деградацией функционального мутантного белка, у субъекта, нуждающегося в этом, причем указанный способ включает введение субъекту композиции по п. 7, при этом указанное заболевание или нарушение представляет собой муковисцидоз.

9. Способ получения рекомбинантного белка, включающий введение модулятора человеческого TRIM11 в клетку, модифицированную для экспрессии рекомбинантного белка.

10. Способ по п. 9, где указанный модулятор содержит по меньшей мере одно, выбранное из группы, состоящей из следующего:

а. изолированный пептид, содержащий человеческий TRIM11; и

б. изолированная молекула нуклеиновой кислоты, кодирующая пептид, содержащий человеческий TRIM11.

11. Способ по п. 9, где указанный модулятор уменьшает белковые агрегаты рекомбинантного белка.