

(12) SOLICITUD INTERNACIONAL PUBLICADA EN VIRTUD DEL TRATADO DE COOPERACIÓN EN MATERIA DE PATENTES (PCT)

(19) Organización Mundial de la
Propiedad Intelectual
Oficina internacional



(10) Número de publicación internacional
WO 2022/238595 A1

(43) Fecha de publicación internacional
17 de noviembre de 2022 (17.11.2022) **WIPO | PCT**

(51) Clasificación internacional de patentes:

C12N 15/867 (2006.01) *A61K 48/00* (2006.01)
C12N 5/10 (2006.01) *A61P 7/00* (2006.01)

(21) Número de la solicitud internacional:

PCT/ES2021/070343

(22) Fecha de presentación internacional:

13 de mayo de 2021 (13.05.2021)

(25) Idioma de presentación:

español

(26) Idioma de publicación:

español

(71) Solicitantes: **CENTRO DE INVESTIGACIONES ENERGÉTICAS, MEDIOAMBIENTALES Y TECNOLÓGICAS, O.A., M.P. (CIEMAT)** [ES/ES]; Avenida Complutense nº 40, 28040 Madrid (ES). **CONSORCIO CENTRO DE INVESTIGACIÓN BIOMÉDICA EN**

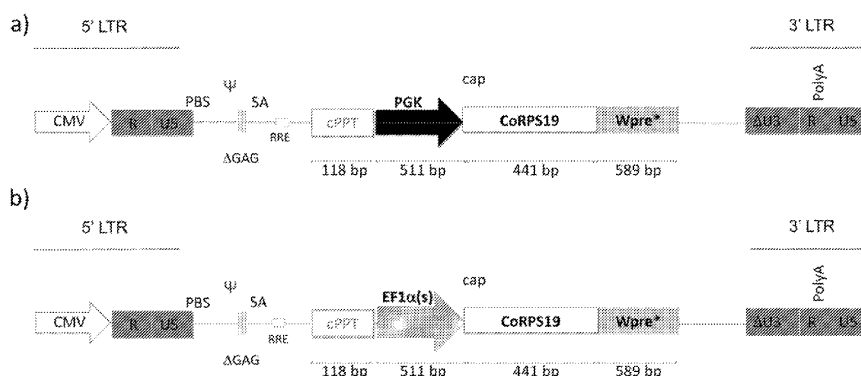
RED, M.P. (CIBER) [ES/ES]; C/Monforte de Lemos, 3-5, 28029 Madrid (ES). **FUNDACIÓN INSTITUTO DE INVESTIGACIÓN SANITARIA FUNDACIÓN JIMÉNEZ DÍAZ (FIIS-FJD)** [ES/ES]; Avenida de los Reyes Católicos, 2, 28040 Madrid (ES). **UNIVERSITÉ LIBRE DE BRUXELLES** [BE/BE]; Avenue Franklin D. Roosevelt nº50, 1050 Bruxelles (BE). **FUNDACIÓN PARA LA INVESTIGACIÓN BIOMÉDICA DEL HOSPITAL INFANTIL UNIVERSITARIO NIÑO JESÚS** [ES/ES]; Av. Menéndez Pelayo, 65, 28009 Madrid (ES).

(72) Inventores: **BUEREN RONCERO, Juan Antonio**; Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas, O.A., M.P. (CIEMAT), Avenida Complutense nº 40, 28040 Madrid (ES). **NAVARRO ORDÓÑEZ, Susana**; Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas, O.A., M.P. (CIEMAT), Aveni-

(54) Title: LENTIVIRAL VECTORS AND USES THEREOF

(54) Título: VECTORES LENTIVIRALES Y USOS DE LOS MISMOS

Figura 1



(57) **Abstract:** The present invention relates to a lentiviral vector, wherein the lentiviral vector comprises a polynucleotide, wherein said polynucleotide is characterized in that it comprises a transcription unit that in turn comprises a human phosphoglycerate kinase (PGK) promoter, a nucleotide sequence encoding for the RPS19 protein and an optimized woodchuck hepatitis virus post-transcriptional regulatory element (WPRE). The invention also relates to compositions and uses of said lentiviral vector, particularly the use thereof for the treatment of Diamond-Blackfan anemia.

(57) **Resumen:** La presente invención proporciona un vector lentiviral, en el que el vector lentiviral comprende un polinucleótido, en el que dicho polinucleótido se caracteriza porque comprende una unidad de transcripción que a su vez comprende un promotor de la fosfoglicerato quinasa (PGK) humana, una secuencia de nucleótidos que codifica para la proteína RPS19 y un elemento regulador postranscripcional del virus de la hepatitis de marmota (Wpre) optimizado. También se proporcionan en el presente documento composiciones y usos de dicho vector lentiviral, particularmente el uso para el tratamiento de anemia de Diamond-Blackfan.

[Continúa en la página siguiente]

da Complutense nº 40, 28040 Madrid (ES). **GIMÉNEZ MARTÍNEZ, Yari**; Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas, O.A., M.P. (CIEMAT), Avenida Complutense nº 40, 28040 Madrid (ES). **PALACIOS PÉREZ, Manuel**; Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas, O.A., M.P. (CIEMAT), Avenida Complutense nº 40, 28040 Madrid (ES). **LAFONTAINE, Denis**; Université Libre de Bruxelles, Avenue Franklin D. Roosevelt nº50, 1050 Bruxelles (BE).

(74) **Mandatario: HOFFMANN EITLE S.L.U.**; Paseo de la Castellana 140, 3ª Planta, Edificio Lima, 28046 Madrid (ES).

(81) **Estados designados** (*a menos que se indique otra cosa, para toda clase de protección nacional admisible*): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, IT, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW.

(84) **Estados designados** (*a menos que se indique otra cosa, para toda clase de protección regional admisible*): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), euroasiática (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), europea (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

Publicada:

- con informe de búsqueda internacional (Art. 21(3))
- con la parte de lista de secuencias de la descripción (Regla 5.2(a))