

(12) МЕЖДУНАРОДНАЯ ЗАЯВКА, ОПУБЛИКОВАННАЯ В
СООТВЕТСТВИИ С ДОГОВОРом О ПАТЕНТНОЙ КООПЕРАЦИИ (РСТ)

(19) Всемирная Организация
Интеллектуальной Собственности
Международное бюро



(10) Номер международной публикации
WO 2021/246909 A1

(43) Дата международной публикации
09 декабря 2021 (09.12.2021)

WIPO | PCT

(51) Международная патентная классификация:

C12N 15/63 (2006.01) A61K 35/761 (2015.01)
C12N 15/67 (2006.01) A61K 48/00 (2006.01)
C12N 15/86 (2006.01) A61P 21/00 (2006.01)
C12N 7/00 (2006.01) A61P 25/00 (2006.01)
C07K 14/075 (2006.01)

Петербург, 190000, Admiraltejskij r-on, Saint Petersburg (RU).

(74) Агент: МЕЛЬЧАЕВА, Ольга Анатольевна (MELCHAEVA, Olga Anatolevna); ул. Связи, д. 34, Литер А Петродворцовый район, Санкт-Петербург, п. Стрельна, 198515, Saint Petersburg, Strelna (RU).

(21) Номер международной заявки: PCT/RU2021/000238

(22) Дата международной подачи:

02 июня 2021 (02.06.2021)

(25) Язык подачи:

Русский

(26) Язык публикации:

Русский

(30) Данные о приоритете:

2020118148 02 июня 2020 (02.06.2020) RU

(71) Заявитель: ОБЩЕСТВО С ОГРАНИЧЕННОЙ
ОТВЕТСТВЕННОСТЬЮ "АНАБИОН" (LIMITED
LIABILITY COMPANY "ANABION") [RU/RU]; ул.
Связи, 34, литера А, пом. 1Н, ком. 117 Санкт-Петербург,
пос. Стрельна, 198515, Saint-Petersburg (RU).

(81) Указанные государства (если не указано иначе, для каждого вида национальной охраны): 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) Указанные государства (если не указано иначе, для каждого вида региональной охраны): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), евразийский (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), европейский патент (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).

Опубликована:

- с отчётом о международном поиске (статья 21.3)
- до истечения срока для изменения формулы изобретения и с повторной публикацией в случае получения изменений (правило 48.2(h))
- с перечнем последовательностей в соответствии с Правилом 5.2(a)

(72) Изобретатели: МАДЕРА, Дмитрий Александрович (MADERA, Dmitriy Aleksandrovich); ул. Космонавта Волкова, д. 5, кв. 205 Москва, 127299, Moscow (RU). ГЕРШОВИЧ, Павел Михайлович (GERSHOVICH, Pavel Mikhailovich); Петергофское ш., д. 45, кв. 627 Санкт-Петербург, 198328, Saint Petersburg (RU). ВЕСЕЛОВА, Анна Сергеевна (VESELOVA, Anna Sergeevna); ул. Верности, д. 6, корп. 1, кв. 85 Санкт-Петербург, 195256, Saint Petersburg (RU). ШУГАЕВА, Татьяна Евгеньевна (SHUGAEVA, Tatiana Evgenievna); Фрунзенская наб., д. 10, кв. 5 Москва, 119021, Moscow (RU). ЛОМУНОВА, Мария Андреевна (LOMUNOVA, Maria Andreevna); Дачный пр., д. 36, корп. 8, кв. 15 Санкт-Петербург, 198215, Saint Petersburg (RU). ШКЛЯЕВА, Маргарита Александровна (SHKLYAEVA, Margarita Aleksandrovna); пр. Просвещения, д. 72, кв. 343 Санкт-Петербург, 195276, Saint Petersburg (RU). МОРОЗОВ, Дмитрий Валентинович (MOROZOV, Dmitry Valentinovich); ул. Почтамтская, д. 20, кв. 3 Адмиралтейский р-он, Санкт-

(54) Title: CODON-OPTIMIZED NUCLEIC ACID ENCODING SMN1 PROTEIN

(54) Название изобретения: КОДОН-ОПТИМИЗИРОВАННАЯ НУКЛЕИНОВАЯ КИСЛОТА, КОДИРУЮЩАЯ БЕЛОК SMN1

(57) Abstract: The present application relates to the field of genetics, gene therapy and molecular biology. More specifically, the present invention relates to an isolated codon-optimized nucleic acid encoding the SMN1 protein (survival motor neuron protein), an expression cassette and a vector based thereon, and a recombinant virus based on AAV9 (adeno-associated virus serotype 9) to increase SMN1 gene expression in target cells, and to the use thereof.

(57) Реферат: Настоящая заявка относится к области генетики, генной терапии и молекулярной биологии. Более конкретно, настоящее изобретение относится к выделенной кодон-оптимизированной нуклеиновой кислоте, которая кодирует белок SMN1 (белок выживаемости моторных (двигательных) нейронов), экспрессионной кассете и вектору на ее основе, а также к рекомбинантному вирусу на основе AAV9 (аденоассоциированный вирус 9 серотипа) для увеличения экспрессии гена SMN1 в целевых клетках, и их применению.



WO 2021/246909 A1