

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

(19) Всемирная Организация
Интеллектуальной Собственности
Международное бюро



(10) Номер международной публикации
WO 2023/022633 A1

(43) Дата международной публикации
23 февраля 2023 (23.02.2023)

(51) Международная патентная классификация:

C07K 14/075 (2006.01) *C12N 7/01* (2006.01)
C07K 14/005 (2006.01) *C12N 15/09* (2006.01)
C12N 15/861 (2006.01) *A61K 48/00* (2006.01)

(21) Номер международной заявки: РСТ/RU2022/050257

(22) Дата международной подачи:
21 августа 2022 (21.08.2022)

(25) Язык подачи: Русский

(26) Язык публикации: Русский

(30) Данные о приоритете:
2021124727 20 августа 2021 (20.08.2021) RU

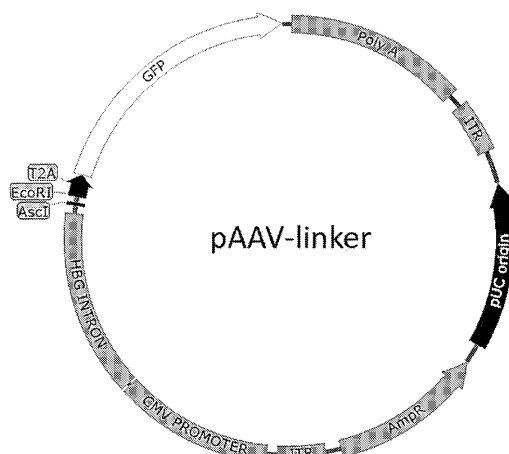
(71) Заявитель: АКЦИОНЕРНОЕ ОБЩЕСТВО "БИО-
КАД" (JOINT STOCK COMPANY "BIOCAD")

[RU/RU]; 198515, г. Санкт-Петербург, вн. тер. г. посе-
лок Стрельна, п. Стрельна, ул. Связи, д. 38, стр. 1, по-
мещ. 89, 198515, Saint Petersburg (RU).

(72) Изобретатели: СТЕЛКОВА, Анна Николаевна
(STRELKOVA, Anna Nikolaevna); ул. Лагуновская, д.
65А, кв. 64 Яранск, Кировская обл., 612261, Yaransk,
Kirovskaya obl. (RU). ЛЕГОЦКИЙ, Сергей Алексан-
дрович (LEGOTSKIИ, Sergei Aleksandrovich); ул. 4-
я Гражданская, д. 39, корп. 1, кв. 35 Москва, 107370,
Moscow (RU). ШУГАЕВА, Татьяна Евгеньевна
(SHUGAEVA, Tatiana Evgenievna); Фрунзенская наб.,
д. 10, кв. 5 Москва, 119021, Moscow (RU). ГЕР-
ШОВИЧ, Павел Михайлович (GERSHOVICH, Pavel
Mikhailovich); Петергофское ш., д. 45, кв. 627 Санкт-
Петербург, 198328, Saint Petersburg (RU). ПРОКО-
ФЬЕВ, Александр Владимирович (PROKOFYEV,

(54) Title: ISOLATED MODIFIED AAV5 CAPSID PROTEIN VP1

(54) Название изобретения: ВЫДЕЛЕННЫЙ МОДИФИЦИРОВАННЫЙ БЕЛОК VP1 КАПСИДА AAV5



Фиг. 1

(57) Abstract: The present application relates to the field of gene therapy and molecular biology. More particularly, the present invention relates to an isolated modified VP1 capsid protein of adeno-associated virus serotype 5 (AAV5), which contains one or more amino acid substitutions by comparison with VP1 capsid protein of wild-type AAV5, which improve transduction efficiency, provide for more effective packaging of AAV viral genomes by drugs based on rAAV5 and also provide for more effective production (assembly) of a vector based on recombinant adeno-associated virus serotype 5 (rAAV5), as well as to a capsid, a vector based on the aforesaid VP1, and the use of same.

(57) Реферат: Настоящая заявка относится к области генной терапии и молекулярной биологии. Более конкретно, настоящее

[продолжение на следующей странице]



WO 2023/022633 A1

Alexander Vladimirovich); Петергофское ш., д. 72, корп.4, кв. 211 Санкт-Петербург, 198206, Saint Petersburg (RU). **ПЕРЕПЕЛКИНА, Мария Павловна** (PEREPELKINA, Mariya Pavlovna); ул. Маршала Захарова, д. 16, корп. 1, кв. 67 Санкт-Петербург, 198328, Saint Petersburg (RU). **ЯКОВЛЕВ, Павел Андреевич** (IAKOVLEV, Pavel Andreevich); ул. Большая Подъячская., д. 29, кв. 16 Санкт-Петербург, 190068, Saint Petersburg (RU). **МОРОЗОВ, Дмитрий Валентинович** (MOROZOV, Dmitry Valentinovich); Адмиралтейский р-он, ул. Почтамтская, д. 20, кв. 3 Санкт-Петербург, 190000, Saint-Petersburg (RU).

(74) **Агент: МЕЛЬЧАЕВА, Ольга Анатольевна** (MELCHAEVA, Olga Anatolevna); вн. тер. г. поселок Стрельна, п. Стрельна, ул. Связи, д. 38, стр. 1, помещ. 89 Санкт-Петербург, 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, CV, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IQ, IR, IS, IT, JM, 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 Правилom 5.2(a)
- в черно-белом варианте; международная заявка в поданном виде содержит цвет или оттенки серого и доступна для загрузки из PATENTSCOPE.

изобретение относится к выделенному модифицированному белку VP1 капсида аденоассоциированного вируса 5 серотипа (AAV5), который содержит одну или несколько аминокислотных замен по сравнению с белком VP1 капсида AAV5 дикого типа, которые повышают эффективность трансдукции, повышают эффективность упаковки вирусных геномов AAV препаратами на основе гAAV5, а также повышают эффективность продукции (сборки) вектора на основе рекомбинантного аденоассоциированного вируса 5 серотипа (гAAV5), капсиду и вектору на основе вышеуказанного VP1, а также к их применению.