

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

(19) Organización Mundial de la Propiedad

Intelectual

Oficina Internacional

(43) Fecha de publicación internacional

19 de agosto de 2021 (19.08.2021)



(10) Número de publicación internacional

WO 2021/163357 A2

(51) Clasificación internacional de patentes:

A61K 38/00 (2006.01)

(21) Número de solicitud internacional:

PCT/US2021/017699

(22) Fecha de presentación internacional:

11 de febrero de 2021 (11.02.2021)

(25) Idioma de presentación:

Inglés

(26) Idioma de publicación:

Inglés

(30) Datos de prioridad:

62/976,160 13 de febrero de 2020 (13.02.2020) US

63/047,633 02 de julio de 2020 (02.07.2020) US

(71) Solicitante: TENAYA THERAPEUTICS, INC.

[US/US]; 171 Oyster Point Boulevard, Suite 500, South San Francisco, California 94080 (US).

(72) Inventor: LOMBARDI, Laura; c/o Tenaya Therapeutics,

Inc., 171 Oyster Point Boulevard, Suite 500, South San Francisco, California 94080 (US).

(74) Agente: WHITTLE, James R. et al; Cooley LLP, 1299

Pennsylvania Avenue, NW, Suite 700, Washington, District of Columbia 20004 (US).

(81) Estados designados (a menos que se indique lo contrario,

para cada tipo de protección nacional disponible): 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, 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, SM, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, ZA, ZM, ZW.

(84) Estados designados (a menos que se indique lo contrario,

para cada tipo de protección regional disponible): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), Eurasia (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), Europa (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).

Declaraciones conforme a la norma 4.17:

- de invención (norma 4.17 (iv))

Publicado:

- sin el informe de búsqueda internacional y será publicada nuevamente cuando se reciba dicho informe (norma 48.2(g))

- con la parte del listado de secuencia de la descripción (norma 5.2(a))

(54) Título: VECTORES DE GENOTERAPIA PARA TRATAR ENFERMEDADES CARDÍACAS

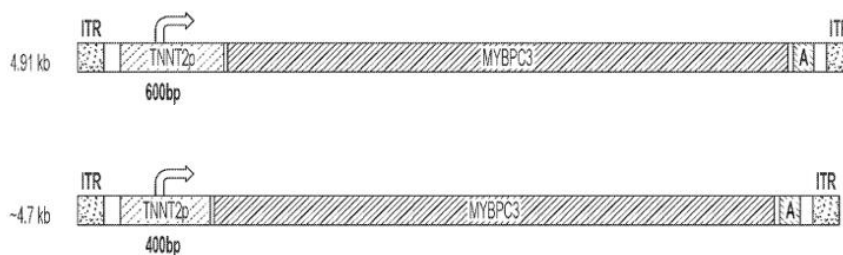


Figura 2A

(57) Resumen: La presente descripción proporciona métodos y composiciones útiles para el tratamiento o la prevención enfermedades cardíacas. En particular, la presente descripción proporciona un vector que comprende un promotor de troponina T modificado enlazado operativamente a un producto génico terapéutico para el tratamiento o la prevención de enfermedades cardíacas, p. ej., miocardiopatía. El producto génico puede ser MYBPC3. La descripción también proporciona viriones de virus adenoasociados recombinantes (rAAV), genomas virales de rAAV, y casetes de expresión y composiciones farmacéuticas de estos. La descripción proporciona además métodos para tratar una enfermedad o trastorno, tal como una enfermedad cardíaca.

WO 2021/163357 A2