



(51) Clasificación Internacional de Patentes:

C12N15/86 (2006.01)

C07K14/435 (2006.01)

A61K48/00 (2006.01)

(21) Número de solicitud internacional:

PCT/US2022/073574

(22) Fecha de presentación internacional:

08 de julio de 2022 (08.07.2022)

(25) Idioma de presentación:

Inglés

(26) Idioma de publicación:

Inglés

(30) Datos de prioridad:

63/219,651

08 de julio 2021 (08.07.2021)

EE.UU.

(71) Solicitante: TENAYA THERAPEUTICS, INC.

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

(72) Inventores: ZHOU, Huanyu; c/o Tenaya Therapeutics, Inc., 171 Oyster Point Boulevard, Suite 500, South San Francisco, California 94080 (EE.UU.). REID, Christopher A.; c/o Tenaya Therapeutics, Inc., 171 Oyster Point Boulevard, Suite 500, South San Francisco, California 94080 (EE.UU.).

(74) Agent: ELBERT, Maya y otros; Cooley LLP, 1299 Pennsylvania Avenue NW, Suite 700, Washington, District of Columbia 20004 (EE.UU.).

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

(54) Título: CASETES DE EXPRESIÓN OPTIMIZADA PARA GENOTERAPIA

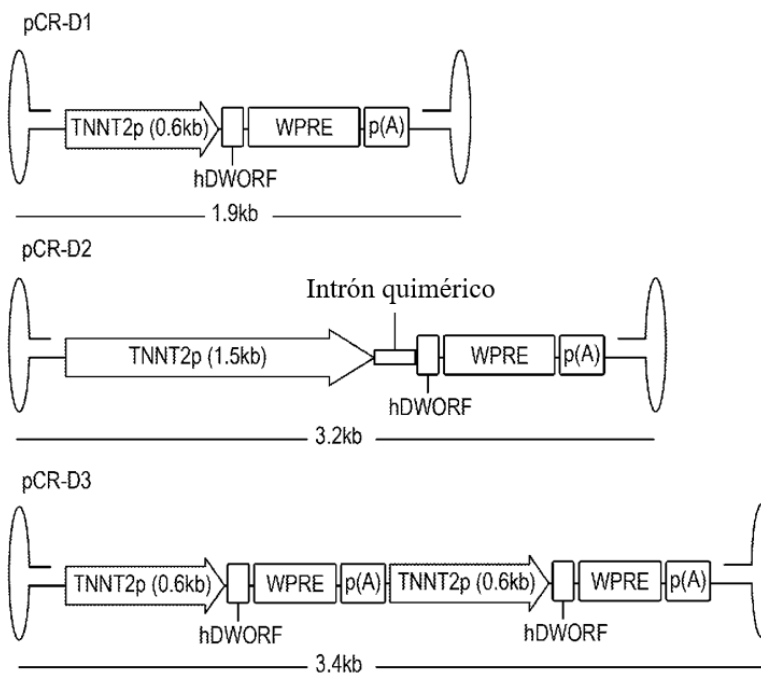


FIGURA 1

(57) Resumen: En algunos aspectos, los casetes de expresión cardiospecíficos se proporcionan en la presente descripción. En algunos aspectos, en la presente descripción se proporciona un casete de expresión que comprende una secuencia polinucleotídica que codifica un producto génico para la terapia de una enfermedad cardíaca, en donde la secuencia polinucleotídica se une operativamente al promotor (por ejemplo, un promotor cardiospecífico), y opcionalmente un potenciador (por ejemplo, un potenciador cardiospecífico). En algunos aspectos, la descripción proporciona un virión de virus adenoasociado recombinante (rAAV), que comprende una proteína de la cápside y un genoma viral que comprende un casete de expresión que comprende una secuencia polinucleotídica que codifica un producto génico terapéutico, por ejemplo, polipéptido de marco de lectura abierto enano (DWORF) unido operativamente a un promotor, el casete de expresión flanqueado por repeticiones terminales invertidas. La descripción proporciona además composiciones farmacéuticas y métodos para tratar o prevenir enfermedades cardíacas.

[Continúa en la siguiente página]





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 lo contrario, para cada clase 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 Regla 4.17:

- sobre el derecho del solicitante a solicitar y obtener una patente (Regla 4.17(ii))
- sobre el derecho del solicitante a reivindicar la prioridad de la solicitud anterior (Regla 4.17(iii))

Publicado:

- con el informe de búsqueda internacional (Art. 21(3))
- antes de que expire el plazo para modificar las reivindicaciones y para volver a publicarse en caso de recepción de modificaciones (Regla 48.2(h))
- con la parte de lista de secuencias de descripción (Regla 5.2(a))