



(12) **ИСПРАВЛЕННОЕ ОПИСАНИЕ ИЗОБРЕТЕНИЯ К
ЕВРАЗИЙСКОЙ ЗАЯВКЕ**

- (15) Информация об исправлении
Версия исправления: 1 (W1 A1)
исправления в биб. данных, код ИНИД (71)
- (48) Дата публикации исправления
2018.11.30, Бюллетень №11'2018
- (43) Дата публикации заявки
2018.01.31
- (22) Дата подачи заявки
2016.03.10

- (51) Int. Cl. **A61K 38/16** (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)
A61P 25/00 (2006.01)
A61P 25/28 (2006.01)

(54) **РЕКОМБИНАНТНЫЕ КОНСТРУКЦИИ GLUT1 АДЕНОАССОЦИИРОВАННОГО
ВИРУСНОГО ВЕКТОРА И СПОСОБЫ ВОССТАНОВЛЕНИЯ ЭКСПРЕССИИ GLUT1
НА ИХ ОСНОВЕ**

- (31) 62/130,899
(32) 2015.03.10
(33) US
(86) PCT/US2016/021810
(87) WO 2016/145217 2016.09.15
(71) Заявитель:
**ЗЕ ТРАСТИС ОФ КОЛАМБИЯ
ЮНИВЕРСИТИ ИН ЗЕ СИТИ ОФ
НЬЮ-ЙОРК; ЮНИВЕРСИТИ ОФ
МАССАЧУСЕТС (US)**
- (72) Изобретатель:
**Де Виво Дэрилл, Монани Умрао, Гао
Гуанпин, Энгельстад Кристин (US)**
- (74) Представитель:
**Харин А.В., Котов И.О., Буре Н.Н.,
Стойко Г.В. (RU)**

(57) Настоящее изобретение относится к рекомбинантным конструкциям Glut1 аденоассоциированного вирусного вектора (AAV) и способам восстановления экспрессии Glut1 на их основе у млекопитающих с дефицитом Glut1. В некоторых вариантах реализации изобретения rAAV дополнительно содержит β-актиновый промотор курицы, причем rAAV способен проникать сквозь гематоэнцефалический барьер (ГЭБ). В некоторых вариантах реализации настоящее изобретение относится к композиции, содержащий любой из рекомбинантных AAV, описанных в настоящем описании. В некоторых вариантах реализации настоящее изобрете-

ние относится к набору, содержащему емкость, которая содержит композицию, описанную в настоящем описании. В некоторых вариантах реализации настоящее изобретение относится к способам восстановления транспорта Glut1 в ГЭБ субъекта, включающим введение субъекту эффективного количества любого из рекомбинантных векторов AAV, описанных в настоящем документе. В некоторых вариантах реализации настоящее изобретение относится к способу лечения синдрома дефицита Glut1 у субъекта, нуждающегося в этом.

