1. Rekombinantinio adeno-asocijuoto viruso (rAAV) dalelė, skirta naudoti taikant žinduoliui akių sutrikimo gydymo būdą, minėtas būdas apima heterologinės nukleorūgšties tiekimą į asmens akį, kur minėtas būdas apima minėtos rekombinantinio adeno-asocijuoto viruso (rAAV) dalelės įvedimą į asmens subretiną, kur rAAV dalelė apima

a) rekombinantinio AAV2 (rAAV2) kapsidę, apimančią AAV2 kapsidės baltymus, apimančius vieną arba daugiau aminorūgščių pakeitimų vienoje arba daugiau pozicijų R484, R487, K527, K532, R585 ir (arba) R588, pagal numeraciją pagrįstą AAV2 numeracija VP1,

kur vienas iš keleto aminorūgščių pakeitimų yra su hidrofobine aminorūgščių liekana, ir

kur vienas arba daugiau aminorūgščių pakeitimų sumažina rAAV dalelės prisirišmą prie heparano sulfato proteoglikano, ir

b) rAAV vektorių, apimantį heterologinę nukleorūgštį ir bent vieną AAV invertuotą galinį pakartojimą.

2. Kompozicija, apimanti rekombinantinio adeno-asocijuoto viruso (rAAV) dalelę, skirta naudoti taikant asmens akių sutrikimo gydymo būdą, kur minėtas būdas apima minėtos kompozicijos subretinalinį pristatymą į asmens tinklainę, kur rAAV dalelės apima

a) rAAV2 kapsidę, apimančią AAV2 kapsidės baltymus, apimančius vieną arba daugiau aminorūgščių pakeitimų vienoje arba daugiau pozicijų R484, R487, K527, K532, R585 ir (arba) R588, pagal numeraciją pagrįstą AAV2 numeracija VP1,

kur vienas iš keleto aminorūgščių pakeitimų yra atliekamas su hidrofobine aminorūgščių liekana, ir

kur vienas arba daugiau aminorūgščių pakeitimų sumažina rAAV dalelės prisirišimą prie heparano sulfato proteoglikano, ir

b) rAAV vektorių, apimantį heterologinę nukleorūgštį ir bent vieną AAV galinį pakartojimą.

3. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal 1 punktą, arba kompozicija, skirta naudoti pagal 2 punktą, kur heterologinė nukleorūgštis yra funkcionaliai prijungta prie promotoriaus, tinkamo terapinio polipeptido raiškai, arba terapinės nukleorūgšties vienoje arba daugiau tinklainės ląstelių tipų.

4. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal 3 punktą, arba kompozicija, skirta naudoti pagal 3 punktą, kur tinklainės ląstelė yra fotoreceptoriaus ląstelė.

5. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 4 punktų, kur heterologinė nukleorūgštis yra naudojama žmogaus akių sutrikimui gydyti, parinktam iš grupės susidedančios iš autosominės recesyvinės sunkios ankstyvosios tinklainės degeneracijos (įgimta Leberio amaurozė), įgimtos achromatopsijos, Stargardto ligos, Besto ligos, Doino ligos, kolbelių distrofijos, pigmentinio retinito, su X chromosoma susietos tinklainės sluoksniavimosi, Ašerio sindromo, su amžiumi susijusios geltonosios dėmės degeneracijos, atrofinės su amžiumi susijusios geltonosios dėmės degeneracijos, neovaskulinės AMD, diabetinės makulopatijos, proliferacinės diabetinės retinopatijos (PDR), cistoidinės geltonosios dėmės edemos, centrinės serozinės retinopatijos, tinklainės atšokimo, akies vidaus uždegimo, glaukomos ir užpakalinio uveito.

6. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1 ir 3 - 4 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 5 punktų, kur vienas arba daugiau aminorūgščių pakeitimų sumažina rAAV dalelės prisirišmą prie heparano sulfato proteoglikano apytikriai bent 10 %, apytikriai bent 25 %, apytikriai bent 50 %, apytikriai bent 75 % arba apytikriai bent 100 %.

7. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1, 3 - 4 ir 6 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 6 punktų, kur vienas arba daugiau aminorūgščių pakeitimų apima arginino arba lizino liekanos pakeitimą alanino liekana.

8. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1, 3 - 4 ir 6 - 7 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 7 punktų, kur vienas arba daugiau aminorūgščių pakeitimų apima pakeitimus R484 ir R487 pozicijose arba R585 ir R588 pozicijose, pagal numeraciją pagrįstą AAV2 numeracija VP1.

9. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1, 3 - 4 ir 6 - 8 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 8 punktų, kur AAV2 kapsidės baltymai apima aminorūgščių pakeitimus R585A ir R588A, pagal numeraciją pagrįstą AAV2 numeracija VP1.

10. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1, 3 - 4 ir 6 - 9 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 9 punktų, kur AAV2 kapsidės baltymai apima aminorūgšties pakeitimą K532A, pagal numeraciją pagrįstą AAV2 numeracija VP1.

11. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1, 3 – 4 ir 6 - 10 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 10 punktų, kur rAAV dalelė apima vieną arba daugiau AAV2 kapsidės baltymų, turinčių bent apie 90 %, bent apie 91 %, bent apie 92 %, bent apie 93 %, bent apie 94 %, bent apie 95 %, bent apie 96 %, bent apie 97 %, bent apie 98 %, bent apie 99 % arba 100 % sekos tapatumą sekoms SEQ ID Nr. 2, 4 arba 6.

12. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1, 3 - 4 ir 6 - 11 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 11 punktų, kur heterologinė nukleorūgštis koduoja polipeptidą, parinktą iš grupės, susidedančios iš antioksidanto, neurotrofinio faktoriaus, antiapoptozinio faktoriaus, antiangiogeninio faktoriaus ir priešuždegiminio faktoriaus.

13. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1, 3 - 4 ir 6 - 11 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 - 11 punktų, kur heterologinė nukleorūgštis koduoja terapinę nukleorūgštį.

14. rAAV dalelė, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1, 3 - 4 ir 6 - 13 punktų, arba kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 2 – 13 punktų, kur rAAV vektorius yra pats sau komplementarus rAAV vektorius.