



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:



HR P20160102 T1

HR P20160102 T1

(12) **PRIJEVOD PATENTNIH ZAHTEVA
EUROPSKOG PATENTA**

(51) MKP:

C12N 5/071 (2010.01)
C12N 5/0789 (2010.01)
A61K 35/12 (2015.01)
A61P 37/00 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 26.02.2016.

(21) Broj predmeta: P20160102T

(22) Datum podnošenja zahtjeva u HR: 28.01.2016.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2011048120
Datum podnošenja međunarodne prijave: 17.08.2011.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 11818739.2
Datum podnošenja europske prijave patenta: 17.08.2011.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2012024427
Datum međunarodne objave: 23.02.2012.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 2606120 A2
Datum objave europske prijave patenta: 26.06.2013.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 2606120 B1
Datum objave europskog patenta: 28.10.2015.

(31) Broj prve prijave: 374460 P
957011

(32) Datum podnošenja prve prijave: 17.08.2010.
30.11.2010.

(33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US
US

(73) Nositelj patenta:

**University of Louisville Research Foundation, Inc., 201 E. Jefferson
Street, Suite 215, Louisville, 40202 KY, US**

(72) Izumitelj:

**Suzanne Ildstad, 13906 Riverglen Lane, Prospect, 40059 KY, US
Mary Jane Elliott, 237 Long Needle Road, Brandenburg, 40108 KY, US**

(74) Zastupnik:

Hraste & Partneri odvjetničko društvo, 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma:

HUMANE FACILITACIJSKE STANICE I NJIHOVA UPORABA

HR P20160102 T1

PATENTNI ZAHTJEVI

- 5 1. Terapeutski stanični pripravak koji obuhvaća:
humane krvotvorne matične stanice (HKMS, engl. HSCs), gdje navedene HKMS imaju fenotip CD34+;
humane facilitacijske stanice (hFS, engl. hFCs), gdje navedene hFS-e obuhvaćaju stanice koje imaju fenotip CD8+ /
alfa beta TCR-/CD56^{dim/neg} i stanice koje imaju fenotip CD8+ / alfa beta TCR-/CD56^{bright}; i
humane alfa beta TCR+ T stanice
10 za uporabu u metodi pripravljanja imunog sustava primatelja himernim s imunim sustavom donora, gdje metoda
obuhvaća:
davanje pripravka primatelju, pri čemu je primatelj kondicioniran gdje je navedeno kondicioniranje ukupno
zračenje tijela, davanje toksičnog ili terapijskog agensa, davanje monoklonskog protutijela ili monoklonskog
protutijela vezanog na toksin ili radio izotop ili kombinacija bilo kojeg od njih, gdje su navedene alfa beta
15 TCR+ T stanice prisutne u količini koja je veća od one koja bi se smatrala terapijskom,
pri čemu je broj alfa beta TCR+ T stanica podešen na između 2.0×10^6 i 5.0×10^6 alfa beta TCR+ T stanica /
kg tjelesne težine primatelja.
2. Pripravak za uporabu prema zahtjevu 1, **naznačen time da** hFS-e poboljšavaju sposobnost ugradnje navedenih
HKMS-a u usporedbi s HKMS-a ugrađenim u odsutnosti navedenih hFS-a.
- 20 3. Pripravak za uporabu prema zahtjevu 1, **naznačen time da** kondicioniranje primatelja uključuje dozu ukupnog
tjelesnog zračenja (UTZ, engl. TBI), pri čemu ukupno tjelesno zračenje ne premašuje 300 cGy.
4. Pripravak za uporabu prema zahtjevu 1, **naznačen time da** se terapijski stanični pripravak daje intravenski.
5. Pripravak za uporabu prema zahtjevu 1, **naznačen time da** se imuni sustav primatelja smatra himernim s imunim
sustavom donora kada je imuni sustav primatelja najmanje 1% donorovog podrijetla.
- 25 6. Pripravak za uporabu prema zahtjevu 1, **naznačen time da** primatelj ima bolest, osobito gdje je bolest izabrana iz
skupine koju čine:
autoimune bolesti, osobito dijabetes, multiple skleroza, ili sistemski eritemski lupus,
leukemija,
hemoglobinopatija,
30 naslijeđeni poremećaj metabolizma,
bolest koja zahtijeva transplantaciju organa, osobito gdje je organ srce, koža, jetra, pluća, srce i pluća, bubreg,
gušterača, ili endokrini organ, osobito gdje je endokrini organ štitnjača, paratiroidna žlijezda, timus, kora ili srž
nadbubrežne žlijezde,
infekcija imunodeficientnim virusom ili hepatitisom, i
35 hematopoetska malignost, anemija, hemoglobinopatija, i nedostatak enzima.
7. Terapeutski stanični pripravak za davanje primatelju, koji obuhvaća:
humane krvotvorne matične stanice (HKMS, engl. HSCs), gdje navedene HKMS imaju fenotip CD34+;
humane facilitacijske stanice (hFS, engl. hFCs), gdje navedene hFS-e obuhvaćaju stanice koje imaju fenotip CD8+ /
alfa beta TCR-/CD56^{dim/neg} i stanice koje imaju fenotip CD8+ / alfa beta TCR-/CD56^{bright}; i
40 humane alfa beta TCR+ T stanice, gdje su navedene alfa beta TCR+ T stanice prisutne u količini koja je veća od
one koja bi se smatrala terapijskom,
pri čemu je broj alfa beta TCR+ T stanica podešen na između 2.0×10^6 i 5.0×10^6 alfa beta TCR+ T stanica / kg
tjelesne težine primatelja.
8. Pripravak za uporabu prema zahtjevu 1 ili pripravak prema zahtjevu 7, **naznačen time da** je broj alfa beta TCR+ T
stanica podešen na između 3.0×10^6 i 4.2×10^6 alfa beta TCR+ T stanica / kg tjelesne težine primatelja.
- 45 9. Postupak pripreme terapijskog staničnog pripravka za primjenu na primatelju koji obuhvaća korake:
osiguravanje donorskog izvora humanih krvotvornih matičnih stanica (HKMS, engl. HSCs);
crpljenje humanih alfa beta TCR+ T stanica iz navedenog donorskog izvora kako bi se proizveo iscrpljeni donorski
izvor;
50 podešavanje broja humanih alfa beta TCR+ T stanica u navedenom iscrpljenom donorskom izvoru na između 2.0×10^6 i 5.0×10^6 humanih alfa beta TCR+ T stanica po kg tjelesne težine primatelja,
čime se dobiva terapijski stanični pripravak za primjenu na primatelju,
naznačen time da se u postupku ne koristi humani zametak.
10. Postupak prema zahtjevu 9, **naznačen time da** je navedeni izvor humanih krvotvornih matičnih stanica (HKMS)
55 koštana srž, timus, ili periferna krv.
11. Postupak prema zahtjevu 10, **naznačen time da** je navedeni izvor humanih HKMS koštana srž.
12. Postupak prema bilo kojem od zahtjeva 9 do 11, **naznačen time da** je navedeni izvor humanih HKMS i/ili gdje su
stanice crpljene uporabom jednog ili više protutijela.
13. Postupak prema zahtjevu 12, **naznačen time da** je jedno ili više protutijela konjugirano na magnetsku kuglicu.
- 60 14. Postupak prema zahtjevu 9, **naznačen time da** je broj alfa beta TCR+ T stanica podešen na između 3.0×10^6 i 4.2×10^6 alfa beta TCR+ T stanica / kg tjelesne težine primatelja.

15. Pripravak za uporabo prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 8 koji se može izvesti postupkom prema bilo kojem od zahtjeva 9 do 14.