



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:



HR P20241154 T1

HR P20241154 T1

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

(51) MKP:

A61K 48/00 (2006.01)
C12N 15/861 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 22.11.2024.

(21) Broj predmeta: P20241154T

(22) Datum podnošenja : 17.07.2015.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 20199208.8
Datum podnošenja europske prijave patenta: 17.07.2015.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3821912 A1
Datum objave europske prijave patenta: 19.05.2021.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3821912 B1
Datum objave europskog patenta: 12.06.2024.

(31) Broj prve prijave: 201462028638 P (32) Datum podnošenja prve prijave: 24.07.2014. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US
(62) Broj i datum prvobitne prijave u slučaju podjele patenta: 15825383.1 17.07.2015.

(73) Nositelji patenta:

Massachusetts Eye & Ear Infirmary, 243 Charles Street, Boston, MA 02114, US
UCL Business Ltd, University College London, Gower Street, WC1E 6BT London, GB
The Government of the United States of America as represented by the Secretary, Department of Health and Human Services The Office of Technology Transfer National Institutes of Health, 6011 Executive Boulevard Suite 325, MSC 7660, Bethesda, MD 20892-7660, US
Michael A. Sandberg, 935 Main Street, Reading, MA 01867, US
Basil Pawlyk, 35 Alexis Lane, Hampton Falls, NH 03844, US
Tiansen Li, 14917 Little Bennett Drive, Clarksburg, MD 20871, US
Xinhua Shu, 92 Hillend Crescent, G76 7XY Glasgow, GB
Alan Finlay Wright, 43 Thorburn Road, EH13 0BN Edinburgh, GB
Robin Ali, 14917 Little Bennett Drive, Clarksburg, MD 20871, US

(72) Izumitelji:

(74) Zastupnik:

Odvjetnik Tomislav Hadžija, u suradnji sa DENNEMEYER & ASSOCIATES, 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma: RPGR GENSKA TERAPIJA ZA PIGMENTNU RETINOPATIJU

HR P20241154 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Nukleinska kiselina koja kodira skraćeni ljudski RPGR protein, gdje je skraćeni ljudski RPGR protein bar 95% identičan s punom dužinom SEK. ID. BR.:2.
- 5 2. Nukleinska kiselina prema zahtjevu 1, gdje:
nukleinska kiselina koja kodira skraćeni ljudski RPGR protein je pod kontrolom promotora ljudske rodopsin kinaze (hRK); gdje
 - (a) hRK promotor sadrži SEK. ID. BR.:5; ili
 - (b) hRK promotor se u bitnome sastoji od SEK. ID. BR.:5.
- 10 3. Nukleinska kiselina prema zahtjevu 1 ili 2, gdje nukleinska kiselina kodira skraćeni ljudski RPGR protein koji sadrži SEK. ID. BR.:2.
4. Nukleinska kiselina prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 3, gdje nukleinska kiselina kodira skraćeni ljudski RPGR protein koji se sastoji od SEK. ID. BR.:2.
5. Nukleinska kiselina prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 4, gdje je nukleinska kiselina koja kodira skraćeni ljudski RPGR protein bar 95% identična s punom dužinom SEK. ID. BR.:1.
- 15 6. Nukleinska kiselina prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 5, za upotrebu u tretiranju ljudskog subjekta koji ima X-povezanu pigmentnu retinopatiju (XLRP) ili neko drugo oftalmološko stanje uslijed mutacije gubitka funkcije gena koji kodira retinitis pigmentosa GTPaza regulatorni (RPGR) protein.
7. Virusni vektor koji sadrži nukleinsku kiselinu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 5.
- 20 8. Virusni vektor prema zahtjevu 7, koji je adeno-povezani virusni vektor, opcionalno gdje je adeno-povezani virusni vektor AAV2 ili AAV8.
9. Virusni vektor prema zahtjevu 8, gdje je adeno-povezani virusni vektor AAV2/8.
10. Virusni vektor prema bilo kojem od zahtjeva 7-9, za upotrebu u liječenju ljudskog subjekta koji ima X-povezanu pigmentnu retinopatiju (XLRP) ili neko drugo oftalmološko stanje uslijed mutacije gubitka funkcije gena koji kodira retinitis pigmentosa GTPaza regulatorni (RPGR) protein.
- 25 11. Izolirana stanica domaćina koja sadrži virusni vektor prema zahtjevima 7 do 9 ili nukleinsku kiselinu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 5.
12. Izolirana stanica domaćina prema zahtjevu 11, gdje stanica eksprimira skraćeni ljudski RPGR protein.
13. Adeno-povezani virusni vektor koji sadrži nukleinsku kiselinu koja kodira skraćeni ljudski RPGR protein, gdje je skraćeni ljudski RPGR protein bar 95% identičan sa punom dužinom SEK. ID. BR.:2, za upotrebu u liječenju ljudskog subjekta koji ima X-povezanu pigmentnu retinopatiju (XLRP) ili neko drugo oftalmološko stanje uslijed mutacije gubitka funkcije gena koji kodira retinitis pigmentosa GTPaza regulatorni (RPGR) protein.
- 30 14. Virusni vektor za upotrebu prema zahtjevu 13, gdje je nukleinska kiselina koja kodira skraćeni ljudski RPGR protein pod kontrolom promotora ljudske rhodopsin kinaze (hRK).
- 35 15. Virusni vektor za upotrebu prema zahtjevu 13 ili 14, gdje:
 - (a) hRK promotor sadrži ili se sastoji u bitnome od SEK. ID. BR.:5; i/ili
 - (b) nukleinske kiseline koja kodira skraćeni ljudski RPGR protein koji sadrži ili se sastoji u bitnome od sekvence koja je bar 95% identična sa SEK. ID. BR.: 1.
- 40 16. Virusni vektor za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 13-15, gdje je adeno-povezani virusni vektor AAV2 ili AAV8.
17. Virusni vektor za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 13-15, gdje je adeno-povezani virusni vektor AAV2/8
18. Virusni vektor za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 13 do 17, gdje skraćeni ljudski RPGR protein sadrži SEK. ID. BR.:2.
19. Virusni vektor za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 13 do 18, gdje skraćeni ljudski RPGR protein se sastoji od SEK. ID. BR.: 2.
- 45 20. Virusni vektor za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 13 do 19;
 - (a) gdje upotreba obuhvaća davanje nukleinske kiseline u niskoj dozi od oko 2×10^{10} vg/mL, srednjoj dozi od oko 2×10^{11} vg/mL, ili visokoj dozi od oko 2×10^{12} vg/mL; and/or
 - (b) gdje je nukleinska kiselina davana u subretinalni prostor ;
- 50 opcionalno gdje je mikroinjekcijska kanila umetnuta u subretinalni prostor, temporalno optičkom živcu i baš iznad glavnih arkadnih žila, tako da protok tekućine može biti usmjeren ka makuli.