



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:

HR P20171334 T1



HR P20171334 T1

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

(51) MKP:

C12N 15/86 (2006.01)
C07K 14/005 (2006.01)
C12Q 1/70 (2006.01)
G01N 33/50 (2006.01)
A61K 38/17 (2006.01)
A61K 9/00 (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)
C12N 15/115 (2010.01)
C12N 7/00 (2006.01)
C12N 15/113 (2010.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 17.11.2017.

(21) Broj predmeta: P20171334T

(22) Datum podnošenja zahtjeva u HR: 05.09.2017.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2012034413
Datum podnošenja međunarodne prijave: 20.04.2012.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 12774323.5
Datum podnošenja europske prijave patenta: 20.04.2012.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2012145601
Datum međunarodne objave: 26.10.2012.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 2699270 A2
Datum objave europske prijave patenta: 26.02.2014.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 2699270 B1
Datum objave europskog patenta: 21.06.2017.

(31) Broj prve prijave: 201161478355 P (32) Datum podnošenja prve prijave: 22.04.2011. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US

(73) Nositelj patenta:

The Regents of the University of California, 1111 Franklin Street, 12th Floor, Oakland, CA 94607, US

(72) Izumitelji:

David V. Schaffer, 19 Rima Court, Danville, CA 94526, US
Ryan R. Klimczak, 53 Clarendon Avenue, San Francisco, CA 94114, US
James T. Koerber, 325 Lenox Avenue 402, Oakland, CA 94610, US
John G. Flannery, 1054 Cragmont Avenue, Berkeley, CA 94708-1434, US
Deniz Dalkara Mourot, 30 rue Maurice Barres, Dombasle sur Meurthe, 54110 Paris, FR
Meike Visel, 6532 Knott Avenue, El Cerrito, CA 94530, US
Leah C.T. Byrne, 112 Barker Hall, University of California, Berkeley, CA 94720, US

(74) Zastupnik:

PRODUCTA d.o.o., 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma:

VIRIONI ADENO-POVEZANOG VIRUSA S KAPSID VARIJANTOM I POSTUPCI NJIHOVE UPOTREBE

HR P20171334 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Virion rekombinantnog adeno-povezanog virusa (rAAV), ili farmaceutski pripravak koji sadrži navedeni virion, naznačen time da je za upotrebu u postupku liječenja očne bolesti kod pojedinca kojem je to potrebno, pri čemu pripravak sadrži farmaceutski prihvatljivo pomoćno sredstvo, te pri čemu virion rekombinantnog adeno-povezanog virusa (rAAV) sadrži:
 - a. varijantu AAV kapsidnog proteina, pri čemu varijanta AAV kapsidnog proteina sadrži umetanje peptida u GH petlju kapsidnog proteina u odnosu na odgovarajući matični AAV kapsidni protein, pri čemu umetak sadrži sekvencu amino kiseline odabranu od LGETTRP (SEQ ID NO: 13), NETITRP (SEQ ID NO: 14), KAGOANN (SEQ ID NO: 15), KDPKTTN (SEQ ID NO: 16), KDTDTTR (SEQ ID NO:57), RAGGSVG (SEQ ID NO:58), AVDTTKF (SEQ ID NO:59), i STGKVPN (SEQ ID NO:60); i
 - b. heterolognu nukleinsku kiselinu koja sadrži nukleotidnu sekvencu koja kodira genski produkt; pri čemu varijanta kapsidnog proteina inficira stanicu mrežnice.
2. Virion rAAV ili farmaceutski pripravak za upotrebu prema zahtjevu 1, naznačen time daje mjesto umetanja unutar amino kiselina 570-611 iz AAV2 kapsidnog proteina prikazanog u SEQ ID NO:1, ili odgovarajuće mjesto u kapsidnom proteinu drugog AAV serotipa.
3. Virion rAAV ili farmaceutski pripravak za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 2, naznačen time da stanica mrežnice je fotoreceptor, ganglijska stanica mrežnice, Mullerova stanica, bipolarna stanica, amakrina stanica, horizontalna stanica, ili pigmentirana epitelna stanica mrežnice.
4. Virion rAAV ili farmaceutski pripravak za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 3, naznačen time da navedeni tretman je putem intraokularne injekcije.
5. Virion rAAV ili farmaceutski pripravak za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 4, naznačen time da navedeni tretman je putem intravitrealne injekcije.
6. Virion rAAV ili farmaceutski pripravak za upotrebu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 5, naznačen time da očna bolest je glaukom, retinitis pigmentosa, makularna degeneracija, retinoshiza, Leberova kongenitalna amauroza, dijabetička retinopatija, akromotopsija, ili sljepoća za boje.
7. Virion rekombinantnog adeno-povezanog virusa (rAAV) naznačen time da sadrži:
 - a. varijantu AAV kapsidnog proteina, pri čemu varijanta AAV kapsidnog proteina sadrži umetanje peptida u GH petlju kapsidnog proteina u odnosu na odgovarajući matični AAV kapsidni protein, pri čemu umetak sadrži amino sekvencu amino kiseline odabranu od LGETTRP (SEQ ID NO: 13), NETITRP (SEQ ID NO: 14), KAGOANN (SEQ ID NO: 15), KDPKTTN (SEQ ID NO: 16), KDTDTTR (SEQ ID NO:57), RAGGSVG (SEQ ID NO:58), AVDTTKF (SEQ ID NO:59), i STGKVPN (SEQ ID NO:60), te pri čemu varijanta kapsidnog proteina predaje infektivnost stanice mrežnice; i
 - b. heterolognu nukleinsku kiselinu koja sadrži nukleotidnu sekvencu koja kodira genski produkt.
8. Virion rAAV prema zahtjevu 7, naznačen time daje mjesto umetanja unutar amino kiselina 570-611 iz AAV2 kapsidnog proteina prikazanog u SEQ ID NO: 1, ili odgovarajuće mjesto u kapsidnom proteinu iz drugog AAV serotipa.
9. Virion rAAV prema bilo kojem od zahtjeva 7 do 8, naznačen time da stanica mrežnice je fotoreceptor, ganglijska stanica mrežnice, Mullerova stanica, bipolarna stanica, amakrina stanica, horizontalna stanica, ili pigmentirana epitelna stanica mrežnice.
10. Virion rAAV prema bilo kojem od zahtjeva 7 do 9, naznačen time da je genski produkt ometajuća RNA, aptamer ili polipeptid.
11. Virion rAAV prema zahtjevu 10, naznačen time daje polipeptid odabran iz skupine koju čine: neurotrofni faktor dobiven iz glija stanica, faktor rasta fibroblasta 2, neurturin, cilijarni neurotrofni faktor, nervni faktor rasta, neurotrofni faktor dobiven iz mozga, epidermalni faktor rasta, rodopsin, X-vezani inhibitor apoptoze, retinoshizin, RPE65, retinitis pigmentosa GTPaza interakcijski protein-1, periferin, periferin-2, rodopsin, te Sonic hedgehog.
12. Farmaceutski pripravak naznačen time da sadrži:
 - a. virion rekombinantnog adeno-povezanog virusa prema bilo kojem od zahtjeva 7 do 11; i
 - b. farmaceutski prihvatljivo pomoćno sredstvo.
13. Izolirana nukleinska kiselina koja sadrži nukleotidnu sekvencu koja kodira varijantu adeno-povezanog virusa (AAV) kapsidnog proteina, naznačena time da je varijanta AAV kapsidnog proteina kako je definirano u bilo kojem od zahtjeva 7 do 11.
14. Izolirana, genetski modificirana stanica domaćin naznačena time da sadrži nukleinsku kiselinu prema zahtjevu 13.