



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:

HR P20191923 T1



HR P20191923 T1

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

(51) MKP:

A61K 38/47 (2006.01)
A61P 25/00 (2006.01)
A61P 25/28 (2006.01)
A61K 9/19 (2006.01)
A61K 38/46 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 10.01.2020.

(21) Broj predmeta: P20191923T

(22) Datum podnošenja zahtjeva u HR: 22.10.2019.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2011041926
Datum podnošenja međunarodne prijave: 25.06.2011.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 11799037.4
Datum podnošenja europske prijave patenta: 25.06.2011.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2011163650
Datum međunarodne objave: 29.12.2011.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 2585104 A2
Datum objave europske prijave patenta: 01.05.2013.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 2585104 B1
Datum objave europskog patenta: 21.08.2019.

(31) Broj prve prijave: 358857 P	(32) Datum podnošenja prve prijave: 25.06.2010.	(33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US
360786 P	01.07.2010.	US
387862 P	29.09.2010.	US
201161435710 P	24.01.2011.	US
201161442115 P	11.02.2011.	US
201161476210 P	15.04.2011.	US
201161495268 P	09.06.2011.	US

(73) Nositelj patenta: **Shire Human Genetic Therapies, Inc., 300 Shire Way, Lexington, MA 02421, US**

(72) Izumitelji: **Nazila Salamat-Miller, 80 College Avenue, Arlington, MA 02474, US**
Katherine Taylor, 472 Appleton Street, Arlington, MA 02476, US
Paul Campolieto, 3595 Red Hill Road, Charlottesville, VA 22903, US
Zahra Shahrokh, 5 Terrace Road, Weston, MA 02493, US
Jing Pan, 868 Depot Road, Boxborough, MA 01719, US
Lawrence Charnas, 49 Mill Street, 0 Natick, MA 1760, US
Teresa Leah Wright, 39 Earl Street, Lexington, MA 02142, US
Pericles Calias, 39 Swains Pond Road, Melrose, MA 02176, US

(74) Zastupnik: **Odvjetnik Tomislav Hadžija, u suradnji sa DENNEMEYER & ASSOCIATES, BCI- Business Center International - 1. kat, 10000 Zagreb, HR**

(54) Naziv izuma: **POSTUPCI I SASTAVI ZA ISPORUKU ARILSULFATAZE A U CNS**

HR P20191923 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Stabilna vodena formula za intratekalnu primjenu koja sadrži protein arilsulfatazu A (ASA) u koncentraciji većoj od 10 mg/ml, sol, polisorbati surfaktant i puferi, pri čemu je sol NaCl.
- 5 2. Stabilna vodena formula prema patentnom zahtjevu 1, gdje je ASA protein prisutan u koncentraciji u rasponu od 15-100 mg/ml, opcionalno gdje je ASA protein prisutan u koncentraciji izabranoj između 30 mg/ml, 50 mg/ml ili 100 mg/ml.
3. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, gdje ASA protein sadrži aminokiselinsku sekvencu SEQ ID NO: 1.
- 10 4. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, pri čemu:
 - (i) ASA protein se proizvodi iz ljudske stanične linije, ili
 - (ii) ASA protein se proizvodi iz CHO stanica.
5. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, gdje je NaCl prisutan u koncentraciji koja je u rasponu od 30-300 mM, opcionalno u koncentraciji u rasponu od 137-154 mM, opcionalno u
- 15 koncentraciji od približno 154 mM.
6. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, gdje je polisorbati surfaktant izabran iz skupine koja se sastoji od polisorbata 20, polisorbata 40, polisorbata 60, polisorbata 80 i njihove kombinacije, opcionalno gdje polisorbati surfaktant je polisorbit 20, opcionalno gdje je polisorbati surfaktant prisutan u koncentraciji u rasponu od 0,001 do 0,5% i opcionalno gdje je polisorbit 20 prisutan u koncentraciji od približno
- 20 0,005%.
7. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, gdje je puferi agens izabran iz skupine koja se sastoji od fosfata, acetata, histidina, suksinata, citrata, Trisa i njihovih kombinacija, a opcionalno gdje je puferi agens fosfat i prisutan je u koncentraciji ne većoj od 50 mM i opcionalno u koncentraciji ne većoj od 20 mM.
- 25 8. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, pri čemu formula ima pH od približno 3-8,0, približno 6,0-6,5 ili približno 6,0.
9. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, pri čemu je formula rekonstituirana iz liofilizirane formule s razblaživačem.
10. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, pri čemu formula dalje sadrži
- 30 stabilizator.
11. Stabilna vodena formula prema patentnom zahtjevu 10, gdje je stabilizator izabran iz skupine koja se sastoji od saharoze, glukoze, manitola, sorbitola, PEG 4000, histidina, arginina, lizina, fosfolipida i njihove kombinacije.
12. Posuda za skladištenje koja sadrži jedinični dozi oblik stabilne vodene formule prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva.
- 35 13. Posuda za skladištenje prema patentnom zahtjevu 12, pri čemu je posuda za skladištenje izabrana između ampule, bočice, patrone, rezervoara, lio-injektora ili prethodno napunjene šprice, opcionalno gdje je posuda za skladištenje prethodno napunjena špricom i opcionalno je izabrana između borosilikatnih staklenih šprica s premazom od pečenog silikona, borosilikatnih staklenih šprica s raspršenim silikonom ili plastičnih šprica od smole bez silikona.
14. Posuda za skladištenje prema patentnom zahtjevu 12, pri čemu je stabilna vodena formula prisutna u obujmu
- 40 manjem od oko 50,0 mL, opcionalno gdje je stabilna vodena formula prisutna u obujmu manjem od oko 5,0 mL.
15. Stabilna vodena formula prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1-11, za upotrebu u postupku liječenja bolesti metakromatske leukodistrofije (MLD) koji obuhvaća korak intratekalne primjene formule subjektu.
16. Stabilna vodena formula za upotrebu prema patentnom zahtjevu 15, pri čemu:
 - (i) intratekalna primjena se upotrebljava zajedno sa intravenskom primjenom, opcionalno gdje intravenska primjena nije češća od jednom mjesečno ili nije češća od jednom u svaka dva mjeseca, ili
 - (ii) intratekalna primjena se upotrebljava u odsutstvu intravenske primjene, i/ili
 - (iii) intratekalna primjena se vrši jednom u svaka dva tjedna, jednom mjesečno ili jednom u svaka dva mjeseca, i/ili
 - (iv) intratekalna primjena se upotrebljava u odsutstvu istovremene imunosupresivne terapije.
- 45