



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:



HR P20241073 T1

HR P20241073 T1

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

(51) MKP:

C12N 15/63 (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)
C12N 15/861 (2006.01)
A61P 27/02 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 08.11.2024.

(21) Broj predmeta: P20241073T

(22) Datum podnošenja: 15.11.2018.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2018061319
Datum podnošenja međunarodne prijave: 15.11.2018.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 18878835.0
Datum podnošenja europske prijave patenta: 15.11.2018.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2019099696
Datum međunarodne objave: 23.05.2019.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3710590 A1
Datum objave europske prijave patenta: 23.09.2020.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3710590 B1
Datum objave europskog patenta: 17.07.2024.

(31) Broj prve prijave: 201762586624 P (32) Datum podnošenja prve prijave: 15.11.2017. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US

(73) Nositelj patenta:

**The Regents of the University of Michigan, Office of Technology
Transfer, 1600 Huron Parkway, 2nd Floor, Ann Arbor, MI 48109-2590, US
Debra A. Thompson, 1000 Wall Street, Ann Arbor, MI 48105, US
Robin R. Ali, University College London, Institute of Ophthalmology, 11-
43 Bath Street, EC1V 9EL London, GB
Alexander J. Smith, University College London, Institute of
Ophthalmology, 11-43 Bath Street, EC1V 9EL London, GB**

(72) Izumitelji:

(74) Zastupnik:

ZMP IP d.o.o., 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma:

**VIRUSNI VEKTORI KOJI SADRŽE KODIRAJUĆE REGIJE RDH12 I POSTUPCI ZA LIJEČENJE
DISTROFIJA MREŽNICE**

HR P20241073 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Adeno-asocirani virusni vektor koji sadrži nukleinsku kiselinu, gdje nukleinska kiselina sadrži DNK humanog RDH12 i gdje DNK humanog RDH12 kodira protein koji je najmanje 70%, 80%, 90%, 95% ili 99% identičan cijeloj dužini sekvence SEQ ID NO:2, za uporabu u postupku za liječenje humanog subjekta koji ima oftalmološko stanje kao posljedicu jedne ili većeg broja mutacija gubitka funkcije u genu koji kodira protein retinol-dehidrogenazu 12 (RDH12), gdje postupak obuhvaća primjenu adeno-asociranog virusnog vektora na najmanje jedno oko subjekta, gdje je adeno-asocirani virusni vektor AAV-2, serotip-5 (AAV2/5), pri čemu se DNK RDH12 nalazi pod ekspresijskom kontrolom promotora humane rodopsin-kinaze 1 (hGRK1), i pri čemu je oftalmološko stanje Leberova kongenitalna amauroza (LCA).
2. Adeno-asocirani virusni vektor za uporabu prema zahtjevu 1, gdje promotor hGRK1 sadrži SEQ ID NO:3, ili gdje DNK RDH12 sadrži sekvencu koja je najmanje 60% ili 70% identična SEQ ID NO:1, ili koja obuhvaća primjenu nukleinske kiseline u titru od oko 2×10^{10} virusnih genoma po mililitru (vg/mL) do titra od oko 2×10^{12} vg/mL, ili pri čemu se nukleinska kiselina primjenjuje u subretinalni prostor.
3. Adeno-asocirani virusni vektor za uporabu prema zahtjevu 2, gdje se nukleinska kiselina primjenjuje u subretinalni prostor pomoću mikro injekcijske kanile koja je umetnuta u subretinalni prostor.
4. Adeno-asocirani virusni vektor za uporabu prema zahtjevu 1, gdje DNK humanog RDH12 kodira protein koji sadrži SEQ ID NO:2 i pri čemu se promotor hGRK1 sastoji od SEQ ID NO:3.
5. Adeno-asocirani virusni vektor koji sadrži nukleinsku kiselinu koja kodira DNK humanog RDH12, gdje DNK humanog RDH12 kodira protein koji je najmanje 70%, 80%, 90%, 95% ili 99% identičan cijeloj dužini sekvence SEQ ID NO:2, pri čemu je DNK RDH12 pod kontrolom promotora humane rodopsin-kinaze 1 (hGRK1), i gdje je adeno-asocirani virusni vektor AAV-2, serotip-5 (AAV2/5).
6. Adeno-asocirani virusni vektor prema zahtjevu 5, gdje promotor hGRK1 sadrži SEQ ID NO:3, ili gdje DNK humanog RDH12 kodira protein koji sadrži SEQ ID NO:2.
7. Adeno-asocirani virusni vektor prema zahtjevu 5 ili zahtjevu 6, gdje se promotor hGRK1 sastoji od SEQ ID NO:3.
8. Adeno-asocirani virusni vektor prema zahtjevu 5, gdje je DNK humanog RDH12 najmanje 60% ili 70% identična cijeloj dužini sekvence SEQ ID NO: 1.
9. Izolirana stanica-domaćin koja sadrži adeno-asocirani virusni vektor prema bilo kojem od zahtjeva 5 do 8.
10. Izolirana stanica-domaćin prema zahtjevu 9, gdje stanica eksprimira humani protein RDH12.