

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

PATENTTI- JA REKISTERIHALLITUS
PATENT- OCH REGISTERSTYRELSEN
FINNISH PATENT AND REGISTRATION OFFICE

(10)

FI/EP3998067 T3

(12)

**EUROOPPAPATENTIN KÄÄNNÖS
ÖVERSÄTTNING AV EUROPEISKT PATENT
TRANSLATION OF EUROPEAN PATENT SPECIFICATION**

(45)

Käännöksen kuulutuspäivä - Kungörelsedag av översättning -
Translation available to the public

31.10.2024

(97)

Eurooppapatentin myöntämispäivä - Meddelandedatum för
det europeiska patentet - Date of grant of European patent

11.09.2024

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification

A61K 31/195 (2006 . 01)

A61K 31/198 (2006 . 01)

A61K 38/00 (2006 . 01)

A61K 38/51 (2006 . 01)

A61P 19/10 (2006 . 01)

A61K 31/20 (2006 . 01)

A61K 47/60 (2017 . 01)

A61P 13/02 (2006 . 01)

A61P 17/14 (2006 . 01)

A61P 27/02 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP21204193.3

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

09.11.2016

(97)

Patenttihakemuksen julkiseksitulosopäivä - Patentansökans
publiceringsdag - Patent application available to the public

18.05.2022

(30)

Etu oikeus - Prioritet - Priority

09.11.2015 US US201514935690

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• The Regents of the University of Colorado, A Body Corporate , 1800 Grant Street, 8th Floor , Denver, CO 80203 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• Kraus, Jan P. , Littleton, CO 80123 , (US)

2• Majtan, Tomas , Aurora, CO 80011 , (US)

3• Bublil, Erez , 4481600 Ets Efraim , (IL)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Papula Oy , P.O.Box 981 , 00101 Helsinki , (FI)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

KOOSTUMUKSET JA MENETELMÄT HOMOKYSTINURIAN HOITOON

COMPOSITIONS AND METHODS FOR TREATMENT OF HOMOCYSTINURIA

PATENTTIVAATIMUKSET

1. Koostumus, joka käsittää eristettyä ihmisen typistettyä kystationiini-beta-syntaasin (htCBS) mutanttipolypeptidiä, joka on konjugoitu PEG-yksikköön, jossa eristetty htCBS-mutanttipolypeptidi käsittää SEQ ID NO:3:n mukaisen aminohapposekvenssin, jossa kysteiniini SEQ ID NO:3:n aminohappoasemassa 15 on vaihdettu seriiniksi ja josta puuttuu SEQ ID NO:3:n N-terminaalinen ensimmäinen metioniinitähde, ja se on PEGyloitu ME-200GS:llä;

käytettäväksi menetelmässä, jolla hoidetaan homokystinuriaa ihmiskohteella, jossa PEGyloidun htCBS-mutanttipolypeptidin annostelu tapahtuu vähintään kerran viikossa vähintään kuuden viikon ajan annoksella, joka on välillä 0,33-10 mg/kg.

2. Koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa annos on määrä, joka on valittu ryhmästä, joka koostuu seuraavista: 0,33, 0,5, noin 1, noin 2 ja noin 5 mg/kg.

3. Koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa annos on noin 0,4 mg/kg.

4. Koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa PEGyloitua htCBS-mutanttipolypeptidiä annetaan vähintään kaksi kertaa viikossa.

5. Koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa PEGyloitu htCBS-mutanttipolypeptidi annetaan yhdessä betaiinin kanssa.

6. Koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa betaiini annetaan ennen PEGyloitua htCBS-mutaatiopolypeptidiä.