

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

FI/EP4005603 T3

(12)

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

(45)

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

25.11.2024

(97)

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

25.09.2024

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification

A61K 48/00 (2006 . 01)

C12N 15/63 (2006 . 01)

A61P 9/00 (2006 . 01)

A61P 3/10 (2006 . 01)

C07K 14/005 (2006 . 01)

A61P 27/00 (2006 . 01)

A61P 43/00 (2006 . 01)

A61P 27/02 (2006 . 01)

A61P 27/06 (2006 . 01)

A61P 9/10 (2006 . 01)

C12N 15/86 (2006 . 01)

A61K 38/17 (2006 . 01)

A61K 9/00 (2006 . 01)

C12N 7/00 (2006 . 01)

C12Q 1/70 (2006 . 01)

C12N 15/113 (2010 . 01)

C12N 15/115 (2010 . 01)

G01N 33/50 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP21201945.9

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

20.04.2012

(97)

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

01.06.2022

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

22.04.2011 US US201161478355 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

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

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• SCHAFFER, David V. , Danville, CA 94506-1176 , (US)

2• KLIMCZAK, Ryan R. , San Francisco, CA 94114 , (US)

3• KOERBER, James, T. , Oakland, CA 94610 , (US)

4• FLANNERY, John G. , Berkeley, CA 94708-1434 , (US)

5• DALKARA MOUROT, Deniz , 54110 Paris , (FR)

6• VISEL, Meike , El Cerrito, CA 94530 , (US)

7• BYRNE, Leah C.T. , Berkeley, CA 94720 , (US)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Kolster Oy Ab , Salmisaarenaukio 1 , 00180 Helsinki , (FI)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

Adeno-assosioituneen viruksen virioneita varianttikapsidin kera ja menetelmiä niiden käyttämiseksi

ADENO-ASSOCIATED VIRUS VIRIONS WITH VARIANT CAPSID AND METHODS OF USE THEREOF

Patenttivaatimukset

1. Rekombinantin adeno-assosioituneen viruksen (rAAV) virioni tai mainittua virionia käsittävä farmaseuttinen koostumus käytettäväksi menetelmässä silmäsairauden hoitamiseksi, jossa koostumus käsittää lisäksi farmaseuttisesti hyväksyttävää apuainetta, ja jossa rekombinantin adeno-assosioituneen viruksen (rAAV) virioni käsittää:

a) AAV-kapsidiproteiinivarianttia, jossa AAV-kapsidiproteiinivariantti käsittää aminohapposekvenssin, jolla on ainakin 95 % sekvenssi-identtisyys sekvenssille SEQ ID nro 1, ja peptidin lisäyksen kapsidiproteiinin GH-silmukkaan sekvenssin SEQ ID nro 1 suhteen, jossa peptidi käsittää aminohapposekvenssin LALGETTRPA (SEQ ID nro 45); ja

b) heterologista nukleiinihappoa, joka käsittää geenituotetta koodittavan nukleotidisekvenssin,
jossa AAV-kapsidiproteiinivariantti lisää rAAV-virionin infektiivisyyttä verkkokalvosolulle verrattuna villityypin kapsidiproteiinia, jolla on sekvenssissä SEQ ID nro 1 kuvattu aminohapposekvenssi, käsittävän AAV-virionin infektiivisyyteen verkkokalvosolulle.

2. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa silmäsairaus on diabeettinen makulaturvotus, eksudatiivinen silmänpohjan ikärappeuma tai diabeettinen retinopatia.

3. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa geenituote on antiangiogeeninen polypeptidi.

4. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi minkä tahansa patenttivaatimuksen 1–3 mukaisesti, jossa lisäyskohta on aminohappojen 570-611 sisällä sekvenssin SEQ ID nro 1 suhteen.

5. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi minkä tahansa patenttivaatimuksen 1–3 mukaisesti, jossa lisäyskohta on aminohappojen 587 ja 588 välissä sekvenssin SEQ ID nro 1 suhteen.

6. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi minkä tahansa patenttivaatimuksen 1–5 mukaisesti, jossa rAAV-kapsidiproteiinivariantti käsittää aminohapposekvenssin, jolla on ainakin 99 % sekvenssi-identtisyys sekvenssille SEQ ID nro 1.

7. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 3 tai minkä tahansa patenttivaatimuksesta 3

riippuvaisen patenttivaatimuksen mukaisesti, jossa antiangiogeeninen polypeptidi on verisuonen endoteelikasvutekijän (VEGF) liukoinen reseptori.

8. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 3 tai minkä tahansa patenttivaatimuksesta 3 riippuvaisen patenttivaatimuksen mukaisesti, jossa antiangiogeeninen polypeptidi on VEGF:ää sitova vasta-aine.

9. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 3 tai minkä tahansa patenttivaatimuksesta 3 riippuvaisen patenttivaatimuksen mukaisesti, jossa antiangiogeeninen polypeptidi on liukoista Flt-polypeptidiä käsittävä Fc-fuusiopolypeptidi .

10. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi minkä tahansa patenttivaatimuksen 1–9 mukaisesti, jossa annetaan 106 - 1015 rAAV-virionia.

11. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi minkä tahansa patenttivaatimuksen 1–9 mukaisesti, jossa annetaan 108 - 1012 rAAV-virionia.

12. Rekombinantin AAV:n virioni tai farmaseuttinen koostumus käytettäväksi minkä tahansa patenttivaatimuksen 1–9 mukaisesti, jossa menetelmä käsittää lasiaisensisäisen injektion.

13. Rekombinantin adeno-assosioituneen viruksen (rAAV) virioni, joka käsittää:

a) AAV-kapsidiproteiinivarianttia, jossa AAV-kapsidiproteiinivariantti käsittää aminohapposekvenssin, jolla on ainakin 95 % sekvenssi-identtisyys sekvenssille SEQ ID nro 1, ja peptidin lisäyksen kapsidiproteiinin GH-silmukkaan sekvenssin SEQ ID nro 1 suhteen, jossa peptidi käsittää aminohapposekvenssin LALGETTRPA (SEQ ID nro 45); ja

b) heterologista nukleiinihappoa, joka käsittää geenituotetta koodittavan nukleotidisekvenssin,

jossa AAV-kapsidiproteiinivariantti lisää rAAV-virionin infektiivisyyttä verkkokalvosolulle verrattuna villityypin kapsidiproteiinia, jolla on sekvenssissä SEQ ID nro 1 kuvattu aminohapposekvenssi, käsittävän AAV-virionin infektiivisyyteen verkkokalvosolulle.

14. Patenttivaatimuksen 13 mukainen rAAV, jossa geenituote on antiangiogeeninen polypeptidi.

15. Patenttivaatimuksen 13 mukainen rAAV, jossa lisäyskohta on kohtien 570-611 sisällä sekvenssin SEQ ID nro 1 suhteen tai aminohappojen 587 ja 588 välissä sekvenssin SEQ ID nro 1 suhteen.