



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:



HR P20250322 T1

HR P20250322 T1

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

(51) MKP:

C12N 15/113 (2010.01)
A61K 31/7088 (2006.01)
A61P 27/02 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 06.06.2025.

(21) Broj predmeta: P20250322T

(22) Datum podnošenja : 23.10.2018.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2018057165
Datum podnošenja međunarodne prijave: 23.10.2018.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 18871437.2
Datum podnošenja europske prijave patenta: 23.10.2018.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2019084050
Datum međunarodne objave: 02.05.2019.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3700570 A1
Datum objave europske prijave patenta: 02.09.2020.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3700570 B1
Datum objave europskog patenta: 08.01.2025.

(31) Broj prve prijave: 201762575924 P (32) Datum podnošenja prve prijave: 23.10.2017. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US
201862667200 P 04.05.2018. US

(73) Nositelj patenta:

(72) Izumitelji:

Stoke Therapeutics, Inc., 45 Wiggins Avenue, Bedford, MA 01730, US
Isabel Aznarez, 196 Chestnut Avenue, Unit B, Boston, MA 02130, US
Enxuan Jing, 41 Greaton Rd., West Roxbury, MA 02132, US
Jacob Kach, 9 Cornwall St. 1, Jamaica Plain, MA 02130, US
Aditya Venkatesh, 505 Pleasant St., Apt. 312, Malden, MA 02148, US
Juergen Scharner, 128 Pleasant St., Unit G3, Arlington, MA 02476, US
Baruch Ticho, 48 Gralynn Rd., Newton, MA 02459, US
Gene Liao, 12 Cole Rd., Wayland, MA 01778, US

(74) Zastupnik:

Hraste & Partneri odvjetničko društvo d.o.o., 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma:

**PROTUSMISLENI OLIGOMERI, NAMIJENJENI LIJEČENJU STANJA I BOLESTI
UZROKOVANIH RASPADANJEM RNA POSREDOVANIM BESMISLENIM MUTACIJAMA**

HR P20250322 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Farmaceutski pripravak, **naznačen time** što sadrži protusmisleni oligomer i farmaceutski prihvatljivo pomoćno sredstvo,
 - gdje protusmisleni oligomer hibridizira s ciljanim dijelom pre-mRNA koja sadrži ekson koji potiče raspadanje mRNA posredovano besmislenom mutacijom (NMD ekson), te koji kodira ciljani protein,
 - gdje NMD ekson definiraju genomska mjesta GRCh38/hg38: chr3 193628509 i GRCh38/hg38: chr3 193628616,
 - gdje protusmisleni oligomer promovira isključivanje NMD eksona iz pre-mRNA, čime povisuje razinu obrađene mRNA koja kodira ciljani protein i pojačava ekspimiranje ciljanog proteina u stanici koja sadrži pre-mRNA,
 - gdje je ciljani protein OPA1, te
 - gdje ciljani dio pre-mRNA:
 - (a) je unutar NMD eksona; ili
 - (b) sadrži 5' mjesto spoja NMD eksona s intronom ili 3' mjesto spoja NMD eksona s intronom za NMD ekson, te
 - gdje se protusmisleni oligomer sastoji od 16 do 50 nukleotida, te je najmanje 90% komplementaran s SEQ ID NO: 173.
2. Farmaceutski pripravak u skladu s patentnim zahtjevom 1, **naznačen time** što je namijenjen upotrebi kao medikament.
3. Farmaceutski pripravak u skladu s patentnim zahtjevom 1 namijenjen upotrebi u liječenju bolesti ili stanja kod subjekta kojem je to potrebno, **naznačen time** što je bolest ili stanje povezano sa smanjenom količinom ili sa sniženom aktivnošću ciljanog proteina kojeg kodira gen kod subjekta.
4. Farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s patentnim zahtjevom 3, **naznačen time** što je bolest ili stanje povezano s haploinsuficijencijom gena koji kodira ciljani protein, te što subjekt ima prvi alel koji kodira funkcionalni ciljani protein, te drugi alel iz kojeg se ciljani protein ne proizvodi ili se proizvodi u sniženoj razini, ili drugi alel koji kodira nefunkcionalni ciljani protein ili djelomično funkcionalni ciljani protein.
5. Farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s patentnim zahtjevom 3 ili 4, **naznačen time** što je bolest ili stanje atrofija vidnog živca tipa 1.
6. Farmaceutski pripravak u skladu s patentnim zahtjevom 1, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-5, **naznačeni time** što je ciljani dio unutar NMD eksona.
7. Farmaceutski pripravak u skladu s patentnim zahtjevom 1, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-5, **naznačeni time** što ciljani dio pre-mRNA sadrži 5' mjesto spoja NMD eksona s intronom.
8. Farmaceutski pripravak u skladu s patentnim zahtjevom 1, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-5, **naznačeni time** što ciljani dio pre-mRNA sadrži 3' mjesto spoja NMD eksona s intronom.
9. Farmaceutski pripravak u skladu s patentnim zahtjevom 1, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-5, **naznačeni time** što ciljani dio pre-mRNA sadrži 3' mjesto nadovezivanja NMD eksona.
10. Farmaceutski pripravak u skladu s patentnim zahtjevom 1, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-5, **naznačeni time** što ciljani dio pre-mRNA sadrži 5' mjesto nadovezivanja NMD eksona.
11. Farmaceutski pripravak u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 1 ili 6-10, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-10, **naznačeni time** što je protusmisleni oligomer 100% komplementaran slijedu SEQ ID NO: 173.
12. Farmaceutski pripravak u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 1 ili 6-11, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-11, **naznačeni time** što je protusmisleni oligomer najmanje 95%, najmanje 98%, ili najmanje 99% komplementaran ciljanom dijelu pre-mRNA.
13. Farmaceutski pripravak u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 1 ili 6-12, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-12, **naznačeni time** što je protusmisleni oligomer 100% komplementaran ciljanom dijelu pre-mRNA.
14. Farmaceutski pripravak u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 1 ili 6-13, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-13, **naznačeni time** što protusmisleni oligomer sadrži modifikaciju okosnice, koja uključuje fosforotioatnu spojnicu ili fosfordiamidatnu spojnicu.
15. Farmaceutski pripravak u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 1 ili 6-14, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-14, **naznačeni time** što protusmisleni oligomer uključuje morfolinofosfordiamidat, zaključanu nukleinsku kiselinu, peptidnu nukleinsku kiselinu, 2'-O-metilni, 2'-fluorni ili 2'-O-metoksietilni ostatak.
16. Farmaceutski pripravak u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 1 ili 6-15, ili farmaceutski pripravak namijenjen upotrebi u skladu s bilo kojim od patentnih zahtjeva 2-15, **naznačeni time** što protusmisleni oligomer sadrži najmanje jedan modificirani šećerni ostatak.