

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

EP/EP3261679 T3

(12)

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

(45)

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

28.06.2023

(97)

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

03.05.2023

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification
A61K 48/00 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP16706413.8

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

(97)

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

03.01.2018

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

19.02.2016 PCT/GB2016050419

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

23.02.2015 GB GB201503008

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• UCL Business Ltd, University College London Gower Street, London WC1E 6BT, (GB)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• RIZZI, Matteo, UCL Institute of Ophthalmology 11-43 Bath Street, London EC1V 9EL, (GB)

2• ALI, Robin, UCL Institute of Ophthalmology 11-43 Bath Street, London EC1V 9EL, (GB)

3• SMITH, Alexander, UCL Institute of Ophthalmology 11-43 Bath Street, London EC1V 9EL, (GB)

4• NISHIGUCHI, Koji, c/o UCL Institute of Ophthalmology 11-43 Bath Street, London EC1V 9EL, (GB)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Zacco Sweden AB, P.O. Box 5581 Valhallavägen 117 N, 114 85 Stockholm, (SE)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

Geeniterapia näön parantamiseen

GENE THERAPY TO IMPROVE VISION

PATENTTIVAATIMUKSET

1. Adenoassosioitunut virus (AAV) -vektori, joka käsittää nukleiinihapon, joka koodaa geenituotetta, joka on valoherkkä ja/tai joka moduloi endogeenistä valoherkkää signaalia valoreseptorisolussa, käytettäväksi menetelmässä sellaisen potilaan näön parantamiseksi, jolla on tappisolujen valoreseptorien toimintahäiriö ja/tai degeneraatio, viemällä mainittua nukleiinihappoa potilaan terveisiin verkkokalvon tappisolujen valoreseptoreihin ja ilmentämällä mainittua geenituotetta niissä siten, että niiden valon voimakkuuksien alue, joihin tappisolujen valoreseptori vastaa, laajenee ja/tai nopeus, jolla tappisolujen valoreseptori vastaa, lisääntyy, jolloin:
- geenituote on ArchT, Jaws (ydinhalorodopsiini), iC1C2 tai R9AP;
- AAV-vektorin kapsidi on AAV8-kapsidi; ja
- nukleiinihappo ilmenee tappisoluspesifisen promoottorin valvonnassa.
2. AAV-vektori patenttivaatimuksen 1 mukaiseen käyttöön, jolloin AAV-vektorin genomi on peräisin AAV2:sta.
3. AAV-vektori patenttivaatimuksen 1 tai patenttivaatimuksen 2 mukaiseen käyttöön, jolloin potilas kärsii silmänpohjan rappeumasta, värisokeudesta tai Leberin synnyynnäisestä amauroosista.
4. AAV-vektori patenttivaatimuksen 3 mukaiseen käyttöön, jolloin silmänpohjan rappeuma on silmänpohjan ikärappeuma (AMD), perinnöllinen silmänpohjan rappeumasairaus tai perinnöllinen tappisoludystrofia.
5. Vektori patenttivaatimuksen 4 mukaiseen käyttöön, jolloin silmänpohjan ikärappeuma (AMD) on kostea tai neovaskulaarinen AMD tai geografinen atrofia.
6. AAV-vektori jonkin edeltävän patenttivaatimuksen mukaiseen käyttöön, jolloin tappisolujen valoreseptorin signaali laajenee mesooppiselle ja/tai fotooppiselle valaistusalueelle.
7. AAV-vektori jonkin edeltävän patenttivaatimuksen mukaiseen käyttöön, jolloin tappisolujen valoreseptoreissa ilmenee parempi modulointivoimakkuus ja/tai nopeampi aktivaatio-/inaktivaatiokinetiikka.

- 8.** AAV-vektori jonkin edeltävän patenttivaatimuksen mukaiseen käyttöön, jolloin potilaan mesooppinen ja/tai fotooppinen näkö paranee.
- 9.** AAV-vektori jonkin edeltävän patenttivaatimuksen mukaiseen käyttöön, jolloin tappisoluspesifinen promoottori on rodopsiini (Rho)-, neuraalinen
5 retinaspesifinen leusiinivetoketjuproteiini (NRL)- tai fosfodiesteri 6B (PDE6B) -
promoottori.
- 10.** AAV-vektori jonkin patenttivaatimuksen 1–9 mukaiseen käyttöön, jolloin käyttö tapahtuu yhdessä toisen, näköhäiriöiden hoitoon tai ehkäisyyn käytettävän hoidon kanssa.
- 10 **11.** AAV-vektori jonkin edeltävän patenttivaatimuksen mukaiseen käyttöön, jolloin geenituote on ArchT tai R9AP.