



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:

HR P20201831 T1



HR P20201831 T1

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

(51) MKP:

A61K 48/00 (2006.01)

C12N 9/18 (2006.01)

C12N 15/85 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 08.01.2021.

(21) Broj predmeta: P20201831T

(22) Datum podnošenja zahtjeva u HR: 17.11.2020.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/GB2016050289
Datum podnošenja međunarodne prijave: 08.02.2016.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 16703850.4
Datum podnošenja europske prijave patenta: 08.02.2016.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2016128722
Datum međunarodne objave: 18.08.2016.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3256169 A1
Datum objave europske prijave patenta: 20.12.2017.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3256169 B1
Datum objave europskog patenta: 02.09.2020.

(31) Broj prve prijave: 201502137

(32) Datum podnošenja prve prijave: 09.02.2015.

(33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: GB

(73) Nositelj patenta:

**UCL Business Ltd, The Network Building, 97 Tottenham Court Road,
London W1T 4TP, GB**

(72) Izumitelji:

**Alexander Smith, UCL Institute of Ophthalmology, 11-43 Bath Street,
London, Greater London EC1V 9EL, GB
Robin Ali, UCL Institute of Ophthalmology, 11-43 Bath Street, London
Greater London EC1V 9EL, GB**

(74) Zastupnik:

FORINPRO d.o.o., 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma:

OPTIMIZIRANI PROMOTER RPE65 I KODIRAJUĆE SEKVENCE

HR P20201831 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Konstrukcija vektora koja obuhvaća promotor specifičan za retinalni pigmentni epitel (RPE) i operativno povezanu sekvencu polinukleotida, naznačena time, što promotor specifičan za RPE obuhvaća:
 - (a) sekvencu susjednih nukleotida iz SEQ ID NO:1 koji dodjeljuju ekspresiju specifičnu za RPE na operativno povezanoj sekvenci polinukleotida, ili
 - (b) sekvencu koja sadrži sekvencu najmanje 90 %-tno identičnu sekvenci iz (a) i koja zadržava djelovanje promotora specifičnog za RPE,
 i naznačena time, što operativno povezana sekvenca polinukleotida obuhvaća sekvencu SEQ ID NO: 4.
2. Konstrukcija vektora prema patentnom zahtjevu 1, naznačena time, što promotor specifičan za RPE obuhvaća:
 - (a) najviše 1300 susjednih nukleotida iz SEQ ID NO:1, ili
 - (b) sekvencu koja je najmanje 90 %-tno identična predmetnoj sekvenci od najviše 1300 susjednih nukleotida iz SEQ ID NO:1 i koja zadržava djelovanje promotora specifičnog za RPE.
3. Konstrukcija vektora prema patentnom zahtjevu 2, naznačena time, što promotor specifičan za RPE obuhvaća:
 - (a) najviše 800 susjednih nukleotida iz SEQ ID NO:1, ili
 - (b) sekvencu koja je najmanje 90 %-tno identična predmetnoj sekvenci od najviše 800 susjednih nukleotida iz SEQ ID NO: 1 i koja zadržava djelovanje promotora specifičnog za RPE, opcionalno naznačena time, što promotor specifičan za RPE obuhvaća:
 - (a) sekvencu SEQ ID NO: 2 ili sekvencu nukleotida 12-761 iz SEQ ID NO: 2, ili
 - (b) sekvencu koja je najmanje 90 %-tno identična predmetnoj sekvenci SEQ ID NO: 2, ili koja sadrži nukleotide 12-761 iz SEQ ID NO:2, i koja zadržava djelovanje promotora specifičnog za RPE.
4. Konstrukcija vektora prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, naznačena time, što je predmetna sekvenca iz (a) ili (b) duga najmanje 500 nukleotida.
5. Vektor koji obuhvaća konstrukciju vektora prema bilo kojem patentnom zahtjevu od 1 do 4.
6. Vektor prema patentnom zahtjevu 5, naznačen time, što je predmetni vektor virusni vektor.
7. Vektor prema patentnom zahtjevu 6, naznačen time, što je vektor vektor adenoasociranog virusa (AAV) ili obuhvaća genom AAV-a ili njegov derivat, opcionalno naznačen time, što derivat predstavlja kimerni derivat, rekombinirani derivat ili derivat modificiran kapsidom.
8. Vektor prema patentnom zahtjevu 7, naznačen time, što genom AAV-a potječe iz deriviranog serotipa ili izolata ili kladusa AAV-a, opcionalno naznačen time, što genom AAV-a potječe iz serotipa 2 AAV-a (AAV2), serotipa 4 AAV-a (AAV4), serotipa 5 AAV (AAV5) ili serotipa 8 AAV-a (AAV8) i/ili naznačen time, što je kapsid dobiven iz AAV5 ili AAV8, poželjno naznačen time, što je genom AAV-a dobiven iz AAV2, a kapsid je dobiven iz AAV5 ili AAV8.
9. Stanica domaćina koja sadrži vektor prema patentnom zahtjevu 5 ili proizvodi virusni vektor prema bilo kojem patentnom zahtjevu od 6 do 8, opcionalno naznačena time, što stanica domaćina jeste stanica HEK293 ili HEK293T.
10. Farmaceutski pripravak koji obuhvaća vektor prema bilo kojem patentnom zahtjevu od 5 do 8 i farmaceutski prihvatljivi nosač.
11. Vektor prema bilo kojem patentnom zahtjevu od 5 do 8 za primjenu u metodi sprječavanja ili liječenja retinalne distrofije.
12. Vektor za primjenu prema patentnom zahtjevu 11, naznačen time, što:
 - (a) retinalna distrofija je Leberova kongenitalna amauroza (LCA), starosna makularna degeneracija (AMD), očni albinizam okulokutanog tipa 1 ili tipa Nettleship-Falls ili deficijencija MERTK-a; i/ili
 - (b) liječenje ili prevencija postiže se primjenom vektora prema bilo kojem patentnom zahtjevu od 5 do 8 u pacijenta putem izravne retinalne, subretinalne ili intravitrealne injekcije, opcionalno naznačen time, što se vektor primjenjuje izravno u retinalni, subretinalni prostor ili intravitrealni prostor.