

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

FI/EP3137497 T4

(12)

**MUUTETUSSA MUODOSSA HYVÄKSYTYN EUROOPPAPATENTIN
KÄÄNNÖS
ÖVERSÄTTNING AV EUROPEISKT PATENT I ÄNDRAD FORM
TRANSLATION OF AMENDED EUROPEAN PATENT
SPECIFICATION**

(45)

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

02.06.2025

(97)

Muutetussa muodossa hyväksytyn Eurooppapatentin
myöntämispäivä - Meddelandedatum för det europeiska
patentet i ändrad form - Date of grant of amended European
patent

05.03.2025

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification

C07K 14/71 (2006 . 01)

A61K 48/00 (2006 . 01)

C07K 14/015 (2006 . 01)

C12N 15/86 (2006 . 01)

A61P 25/00 (2006 . 01)

A61P 9/00 (2006 . 01)

A61P 25/08 (2006 . 01)

A61P 25/14 (2006 . 01)

A61P 25/16 (2006 . 01)

A61P 27/02 (2006 . 01)

A61P 25/28 (2006 . 01)

A61P 27/06 (2006 . 01)

A61P 35/00 (2006 . 01)

A61P 43/00 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP15723386.7

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

02.05.2015

(97)

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

05.03.2025

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

02.05.2015 PCT/US2015028966

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

02.05.2014 US 201461988131 P

10.02.2015 US 201562114575 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• Genzyme Corporation , 50 Binney Street , Cambridge, MA 02142 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• SCARIA, Abraham , c/o Sanofi 55 Corporate Drive Mail Code: 55A-505A , Bridgewater, NJ 08807 , (US)

2• SULLIVAN, Jennifer , c/o Sanofi 55 Corporate Drive Mail Code: 55A-505A , Bridgewater, NJ 08807 , (US)

3• STANEK, Lisa, M. , c/o Sanofi 55 Corporate Drive Mail Code: 55A-505A , Bridgewater, NJ 08807 , (US)

4• SHIHABUDDIN, Lamyia , c/o Sanofi 55 Corporate Drive Mail Code: 55A - 505A , Bridgewater, NJ 08807 , (US)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

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

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

AAV-VEKTOREITA VERKKOKALVON JA KESKUSHERMOSTON GEENIHOITOA VARTEN

AAV-VEKTORETER FÖR RETINAL OCH CNS GENTERAPI

AAV VECTORS FOR RETINAL AND CNS GENE THERAPY

(56)

Viitejulkaisut - Anförda publikationer - References cited

EP-A1- 1 486 567; WO-A2-2010/093784; WO-A2-2013/173129;

PATENTTIVAATIMUKSET

1. Rekombinanttisen adenoassosioituneen viruksen (rAAV) partikkeli käytettäväksi menetelmässä silmänsairauden hoitamiseksi nisäkkäässä, jolloin
5 mainittu menetelmä käsittää heterologisen nukleiinihapon luovuttamisen yksilön silmään, jolloin mainittu menetelmä käsittää mainitun rekombinanttisen adenoassosioituneen viruksen (rAAV) partikkelin antamisen yksilön verkkokalvon alle, jolloin rAAV-
10 partikkeli käsittää

a) rekombinanttisen AAV2:n (rAAV2) kapsidin, joka käsittää AAV2-kapsidiproteiineja, jotka käsittävät yhden tai useampia aminohapposubstituutioita asemista R484, R487, K527,
15 K532, R585 ja/tai R588 yhdessä tai useammassa, jossa numerointi perustuu AAV2:n VP1:n numerointiin,

jolloin yksi tai useampi aminohapposubstituutio on substituutio hydrofobisella aminohappotähteellä, ja

20 jolloin yksi tai useampi aminohapposubstituutio vähentää rAAV-partikkelin sitoutumista heparaanisulfaattiproteoglykaaniin, ja

b) rAAV-vektorin, joka käsittää heterologisen nukleiinihapon ja ainakin yhden AAV:n käänteisen
25 terminaalityökalun.

2. Koostumus, joka käsittää rekombinanttisen adenoassosioituneen viruksen (rAAV) partikkelin käytettäväksi menetelmässä silmänsairauden hoitamiseksi yksilössä, jolloin mainittu menetelmä
30 käsittää mainitun koostumuksen subretinaalisen luovuttamisen yksilön verkkokalvoon, jolloin rAAV-partikkelit käsittävät

a) rAAV2-kapsidin, joka käsittää AAV2-kapsidiproteiineja, jotka käsittävät yhden tai
35 useampia aminohapposubstituutioita asemista R484, R487, K527, K532, R585 ja/tai R588 yhdessä tai useammassa, jossa numerointi perustuu AAV2:n VP1:n

numerointiin,

jolloin yksi tai useampi aminohapposubstituutio on substituutio hydrofobisella aminohappotähteellä, ja

5 jolloin yksi tai useampi aminohapposubstituutio vähentää rAAV-partikkelin sitoutumista heparaanisulfaattiproteoglykaaniin, ja

b) rAAV-vektorin, joka käsittää heterologisen nukleiinihapon ja ainakin yhden AAV:n käänteisen
10 terminaalityökaluun.

3. rAAV-partikkeli käytettäväksi patenttivaatimusten 1 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 2 mukaisesti, jolloin heterologinen nukleiinihappo on operoitavasti
15 kytketty promoottoriin, joka on soveltuva terapeuttisen polypeptidin tai terapeuttisen nukleiinihapon ilmentämiseen yhdessä tai useammassa verkkokalvosolujen tyypissä.

4. rAAV-partikkeli käytettäväksi patenttivaatimuksen 3 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 3 mukaisesti, jolloin verkkokalvosolu on fotoreseptorisolu.

5. Koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 2-4 mukaisesti, jolloin
25 heterologista nukleiinihappoa käytetään hoitamaan silmänsairautta ihmisessä valittuna ryhmästä, joka koostuu autosomin kautta resessiivisesti periytyvästä varhain alkavasta vaikeasta verkkokalvorappeumasta (Leberin synnyntäminen amauroosi), synnyntäisestä
30 akromatopsiasta, Stargardtin taudista, Bestin taudista, Doynen taudista, tappisoludystrofiasta, verkkokalvon pigmenttisuutumisesta, X-kromosomaalisesta retinosiisista, Usherin oireyhtymästä, silmänpohjan ikärappeumasta,
35 atrofisesta silmänpohjan ikärappeumasta, neovaskulaarisesta silmänpohjan ikärappeumasta, diabeettisesta makulopatiasta, proliferatiivisesta

diabeettisesta retinopatiasta (PDR), kystisestä makulaturvotuksesta, sentraalisesta seroosista retinopatiasta, verkkokalvon irtaumasta, silmänsisäisestä tulehduksesta, glaukoomasta ja
5 posteriorisesta uveitista.

6. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1 ja 3-4 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 2-5 mukaisesti, jolloin yksi tai useampi
10 aminohapposubstituutio vähentää rAAV-partikkelin sitoutumista heparaanisulfaattiproteoglykaaniin vähintään noin 10 %, vähintään noin 25 %, vähintään noin 50%, vähintään noin 75%, tai vähintään noin 100 %.

7. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1, 3-4 ja 6 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 2-6 mukaisesti, jolloin yksi tai useampi
15 aminohapposubstituutio käsittää arginiini- tai lysiinitähteen substituution alaniinitähteellä.

8. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1, 3-4 ja 6-7 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 2-7 mukaisesti, jolloin yksi tai useampi
25 aminohapposubstituutio käsittää substituutiot asemissa R484 ja R487 tai asemissa R585 ja R588, numerointi AAV2:n VP1:een perustuen.

9. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1, 3-4 ja 6-8 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 2-8 mukaisesti, jolloin AAV2-kapsidiproteiinit
30 käsittävät aminohapposubstituutiot R585A ja R588A, numerointi AAV2:n VP1:een perustuen.

10. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1, 3-4 ja 6-9 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 2-9 mukaisesti, jolloin AAV2-kapsidiproteiinit

käsittävät aminohapposubstituution K532A, numerointi AAV2:n VP1:een perustuen.

11. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1, 3-4 ja 6-10 mukaisesti tai
5 koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 2-10 mukaisesti, jolloin rAAV-partikkeli käsittää yhden tai useampia AAV2-kapsidiproteiineja, joilla on vähintään noin 90 %, vähintään noin 91 %, vähintään noin 92 %, vähintään noin 93 %, vähintään noin 94 %, 10 vähintään noin 95 %, vähintään noin 96 %, vähintään noin 97 %, vähintään noin 98 %, vähintään noin 99 % tai 100 % sekvenssi-identtisyyttä SEQ ID NO:ihin 2, 4 tai 6 nähden.

12. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin
15 patenttivaatimuksista 1, 3-4 ja 6-11 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 2-11 mukaisesti, jolloin heterologinen nukleiinihappo koodaa polypeptidiä valittuna ryhmästä, joka koostuu antioksidantista, neurotrofisesta tekijästä, 20 antiapoptoottisesta tekijästä, antiangiogeenisestä tekijästä ja anti-inflammatorisesta tekijästä.

13. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1, 3-4 ja 6-11 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista
25 2-11 mukaisesti, jolloin heterologinen nukleiinihappo koodaa terapeuttista nukleiinihappoa.

14. rAAV-partikkeli käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1, 3-4 ja 6-13 mukaisesti tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista
30 2-13 mukaisesti, jolloin rAAV-vektori on itsensä suhteen komplementaarinen rAAV-vektori.