

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

FI/EP3893924 T3

(12)

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

(45)

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

04.10.2024

(97)

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

21.08.2024

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification
A61K 39/00 (2006 . 01)
A61K 39/395 (2006 . 01)
A61P 35/02 (2006 . 01)
C07K 16/28 (2006 . 01)
C07K 16/30 (2006 . 01)
A61P 37/06 (2006 . 01)
C07K 14/435 (2006 . 01)
C07K 16/18 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP19832737.1

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

13.12.2019

(97)

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

20.10.2021

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

13.12.2019 PCT/IB2019060802

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

13.12.2018 US US201862779102 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• argenx BV, Industriepark 7, 9052 Zwijnaarde, (BE)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• BLANCHETOT, Christophe, Volderrede 49, 9070 Destelbergen, (BE)

2• DE HAARD, Hans, t'Zwint, 1, NA 4436 Oudelande, (NL)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Berggren Oy, P.O. Box 16 Eteläinen Rautatiekatu 10 A, 00101 Helsinki, (FI)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

**Ihmisen komplementtitekijän C2B vasta-aineita sekä niiden käyttötapoja
ANTIBODIES TO HUMAN COMPLEMENT FACTOR C2B AND METHODS OF USE**

Patenttivaatimukset

1. Monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti, joka sitoutuu spesifisesti ihmisen komplementtitekijään C2,
 5 jossa mainittu monoklonaalinen vasta-aine tai sen mainittu antigeeniin sitoutuva fragmentti käsittää:
 VH-domeenin, joka käsittää SEQ ID NO:3:n kuvaaman aminohapposekvenssin; ja
 VL-domeenin, joka käsittää SEQ ID NO:2:n kuvaaman aminohapposekvenssin.
 10
2. Patenttivaatimuksen 1 mukainen monoklonaalinen vasta-aine, joka monoklonaalinen vasta-aine käsittää täysimittaisen monoklonaalisen vasta-aineen.
- 15 3. Patenttivaatimuksen 1 tai patenttivaatimuksen 2 mukainen monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti, jossa monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti käsittää ihmisen IgG:n raskasketjun pysyvän domeenin.
- 20 4. Patenttivaatimuksen 3 mukainen monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti,
 jossa raskasketjun pysyvä domeeni käsittää ihmisen IgG1:n raskasketjun pysyvän domeenin,
 jossa valinnaisesti ihmisen IgG1:n raskasketjun pysyvä domeeni käsittää SEQ ID NO:29:n kuvaaman aminohapposekvenssin tai
 25 jossa ihmisen IgG1:n raskasketjun pysyvä domeeni käsittää SEQ ID NO:4:n kuvaaman aminohapposekvenssin.
5. Patenttivaatimuksen 3 tai patenttivaatimuksen 4 mukainen monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti,
 30 jossa raskasketjun pysyvä domeeni käsittää aminohapposubstituutiot L234A ja L235A, EU:n numerointijärjestelmän mukaan, ja/tai
 jossa raskasketjun pysyvä domeeni käsittää aminohapposubstituutiot H433K ja N434F, EU:n numerointijärjestelmän mukaan.

6. Patenttivaatimuksen 3 mukainen monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti,

jossa raskasketjun pysyvä domeeni käsittää ihmisen IgG4:n raskasketjun pysyvän domeenin, jossa valinnaisesti ihmisen IgG4:n raskasketjun pysyvä domeeni käsittää SEQ ID NO:5:n kuvaaman aminohapposekvenssin.

7. Patenttivaatimuksen 1 tai patenttivaatimuksen 3 mukainen monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti, tai patenttivaatimuksen 2 mukainen monoklonaalinen vasta-aine,

jossa monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti käsittää raskasketjun, jonka käsittää SEQ ID NO:6:n kuvaaman aminohapposekvenssin, ja kevytketjun, joka käsittää SEQ ID NO:7:n kuvaaman aminohapposekvenssin, tai

jossa monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti käsittää raskasketjun, joka käsittää SEQ ID NO:8:n kuvaaman aminohapposekvenssin, ja kevytketjun, joka käsittää SEQ ID NO:7:n kuvaaman aminohapposekvenssin.

8. Nukleiinihappomolekyyli tai useita nukleiinihappomolekyyliä, jotka koodaavat jonkin patenttivaatimuksen 1 tai 3–7 mukaista monoklonaalista vastaainetta tai sen antigeeniin sitoutuvaa fragmenttia tai patenttivaatimuksen 2 mukaista monoklonaalista vastaainetta.

9. Vektori tai useita vektoreita, jotka käsittävät patenttivaatimuksen 8 mukaisen nukleiinihappomolekyylin tai useita patenttivaatimuksen 8 mukaisia nukleiinihappomolekyyliä.

10. Patenttivaatimuksen 9 mukainen vektori tai useita vektoreita,

jossa mainittu yksi tai useampi vektori on virusvektori, jossa valinnaisesti virusvektori on adenovirusvektori, lentivirusvektori, adenoon liittyvä virusvektori tai retrovirusvektori.

11. Isäntäsolu, joka käsittää:

(a) patenttivaatimuksen 8 mukaisen nukleiinihappomolekyylin tai useita nukleiinihappomolekyyliä;

- (b) patenttivaatimuksen 9 tai patenttivaatimuksen 10 mukaisen vektorin tai useita vektoreita;
- (c) ensimmäisen nukleiinihappomolekyylin, joka koodaa jonkin patenttivaatimuksen 1 tai 3–7 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen tai sen antigeeniin sitoutuvan fragmentin tai patenttivaatimuksen 2 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen raskasketjun vaihtelevaa aluetta tai raskasketjua,
 5 ja toisen nukleiinihappomolekyylin, joka koodaa jonkin patenttivaatimuksen 1 tai 3–7 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen tai sen antigeeniin sitoutuvan fragmentin tai patenttivaatimuksen 2 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen kevytketjun vaihtelevaa aluetta tai kevytketjua; tai
- (d) ensimmäisen vektorin, joka käsittää ensimmäisen polynukleotidin, joka koodaa jonkin patenttivaatimuksen 1 tai 3–7 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen tai sen antigeeniin sitoutuvan fragmentin tai patenttivaatimuksen 2 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen raskasketjun vaihtelevaa aluetta tai raskasketjua,
 10 ja toisen vektorin, joka käsittää toisen polynukleotidin, joka koodaa jonkin patenttivaatimuksen 1 tai 3–7 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen tai sen antigeeniin sitoutuvan fragmentin tai patenttivaatimuksen 2 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen kevytketjun vaihtelevaa aluetta tai kevytketjua.
- 15
- 12.** Patenttivaatimuksen 11 mukainen isäntäsolu,
 25 jossa isäntäsolu on nisäkkään solu,
 jossa valinnaisesti isäntäsolu on hybridoomasolu, kiinanhamsterin munasarjan (CHO) solu, NS0-solu tai ihmisen alkion munuaisen (HEK293) solu.
- 30 **13.** Menetelmä monoklonaalisen vasta-aineen tai sen antigeeniin sitoutuvan fragmentin valmistamiseksi, joka menetelmä käsittää sen, että
 viljellään patenttivaatimuksen 11 tai patenttivaatimuksen 12 mukaisten isäntäsolujen populaatiota olosuhteissa, jotka soveltuvat monoklonaalisen vasta-aineen tai sen antigeeniin sitoutuvan fragmentin ilmentämiseen; ja
 35 eristetään monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti soluista.

14. Farmaseuttinen koostumus, joka käsittää jonkin patenttivaatimuksen 1 tai 3–7 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen tai sen antigeeniin sitoutuvan fragmentin, patenttivaatimuksen 2 mukaisen monoklonaalisen vasta-aineen, patenttivaatimuksen 8 mukaisen nukleiinihappomolekyylin tai useita nukleiinihappomolekyyliä, patenttivaatimuksen 9 tai patenttivaatimuksen 10 mukaisen vektorin tai useita vektoreita, tai patenttivaatimuksen 11 tai patenttivaatimuksen 12 mukaisen isäntäsolun, sekä farmaseuttisesti hyväksyttävän kanto-aineen.

15. Jonkin patenttivaatimuksen 1 tai 3–7 mukainen monoklonaalinen vasta-aine tai sen antigeeniin sitoutuva fragmentti tai patenttivaatimuksen 2 mukainen monoklonaalinen vasta-aine tai patenttivaatimuksen 14 mukainen farmaseuttinen koostumus käytettäväksi menetelmässä klassisen tai lektiinireittiä tapahtuvan komplementin aktivoitumisen estämiseksi kohteessa ja sellaisen taudin tai tilan hoitamiseksi tai estämiseksi, joka on valittu seuraavista: kokeellinen allerginen neuroitti, II-tyyppinen kollageenin indusoima niveltulehdus, vaikea lihasheikkous, hemolyyttinen anemia, glomerulonefriitti, idiopaattinen kalvomainen nefropatia, nivelreuma, perhosreuma, immuunikompleksin välittämä vaskuliitti, MS-tauti, aikuisen hengitysvaikeusoireyhtymä, aivohalvaus, ksenotransplantaatio, allotransplantaatio, palovammat, verenmyrkytys, septinen shokki, sytokiinin tai mAbs:n *in vivo* -antamisen aiheuttama toksisuus, vasta-ainevälitteinen kudossiirrännäisten, kuten munuaiskudossiirrännäisten, hylkiminen, monivamma, iskemia-reperfuusioauriot ja sydäninfarkti.

16. Patenttivaatimuksen 15 mukaisesti käytettäväksi tarkoitettu monoklonaalinen vasta-aine, sen antigeeniin sitoutuva fragmentti tai farmaseuttinen koostumus,

jossa kohde on ihminen.

17. Patenttivaatimuksen 15 tai patenttivaatimuksen 16 mukaisesti käytettäväksi tarkoitettu monoklonaalinen vasta-aine, sen antigeeniin sitoutuva fragmentti tai farmaseuttinen koostumus,

jossa monoklonaalinen vasta-aine, sen antigeeniin sitoutuva fragmentti tai farmaseuttinen koostumus on tarkoitettu annettavaksi kohteelle laskimonsisäisesti.

18. Patenttivaatimuksen 15 tai patenttivaatimuksen 16 mukaisesti käytettäväksi tarkoitettu monoklonaalinen vasta-aine, sen antigeeniin sitoutuva fragmentti tai farmaseuttinen koostumus,

5 jossa monoklonaalinen vasta-aine, sen antigeeniin sitoutuva fragmentti tai farmaseuttinen koostumus on tarkoitettu annettavaksi kohteelle ihon alle.