

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

FI/EP3638243 T3

(12)

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

(45)

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

29.10.2024

(97)

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

07.08.2024

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification

A61K 31/519 (2006 . 01)

A61K 45/06 (2006 . 01)

C07K 14/495 (2006 . 01)

A61K 38/17 (2006 . 01)

A61P 35/00 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP18816685.4

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

13.06.2018

(97)

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

22.04.2020

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

13.06.2018 PCT/US2018037213

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

14.06.2017 US US201762519725 P

01.06.2018 US US201862679210 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• Celgene Corporation , Route 206 & Province Line Road , Princeton, NJ 08543 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• LAADEM, Abderrahmane , 12 Matthews Farm Rd. , Belle Mead NJ 08502 , (US)

2• GALE, Robert , 2316 Donella Circle , Los Angeles CA 90077 , (US)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Kolster Oy Ab , Salmisaarenaukio 1 , 00180 Helsinki , (FI)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

Menetelmiä myeloproliferatiivin neoplasma-assosoidun myelofibroosin ja anemian hoitamiseksi

METHODS FOR TREATING MYELOPROLIFERATIVE NEOPLASM-ASSOCIATED MYELOFIBROSIS AND ANEMIA

PATENTTIVAATIMUKSET

1. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi menetelmässä anemian hoitamiseksi kohteella, jolla on myeloproliferatiiviseen neoplasmaan liittyvä myelofibroosi, jossa kohdetta on aiemmin hoidettu ruksolitinibillä, jossa menetelmä käsittää ActRIIB-signaloinnin estäjän farmaseuttisesti tehokkaan määrän antamisen kohteelle, jossa ActRIIB-signaloinnin estäjä on fuusio-proteiini, joka käsittää: (a) ActRIIB:n solunulkoisen domeenin fragmentti, jossa fragmentti käsittää SEQ ID NO: 9:n aminohapposekvenssin; (b) linkkeri; ja (c) IgG:n Fc.

2. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa hoitaminen vähentää tai lievittää yhtä tai useampaa myeloproliferatiiviseen neoplasmaan liittyvän myelofibroosin oiretta kohteella.

3. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi patenttivaatimuksen 2 mukaisesti, jossa oire on yksi tai useampi seuraavista: väsymys, yöhikoilu, kutina, vatsavaivat, kipu kylkiluiden alla vasemmalla puolella, varhainen kylläisyys tai luukipu.

4. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-3 mukaisesti, jossa kohde on saanut vakiintunutta ruksolitinibiannosta vähintään 112 päivän ajan välittömästi ennen ActRIIB-signaloinnin estäjän antamista kohteelle.

5. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-4 mukaisesti, jossa myeloproliferatiiviseen neoplasmaan liittyvä myelofibroosi on

- (i) primaarinen myelofibroosi;
- (ii) polysytemia veran jälkeinen myelofibroosi; tai
- (iii) essentiaalisen trombosytemian jälkeinen myelofibroosi.

6. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-5 mukaisesti, jossa kohde on:

- (i) punasolusiirroista riippumaton; tai
- 5 (ii) punasolusiirroista riippuvainen.

7. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi patenttivaatimuksen 6 mukaisesti, jossa:

- (i) kohde on punasolusiirroista riippumaton, jos kohde on saanut 0 punasoluyksikköä 84 päivän aikana ennen ActRIIB-signaloinnin estäjän antamista kohteelle;
- 10 tai

- (ii) kohde on punasolusiirroista riippuvainen, jos kohde on saanut punasolusiirtoja keskimäärin 2-4 punasoluyksikköä 28 päivän aikana vähintään 84 päivää
- 15 ennen ActRIIB-signaloinnin estäjän antamista kohteelle.

8. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-7 mukaisesti, jossa farmaseuttisesti tehokas määrä on 0,33 mg/kg, 0,45 mg/kg, 0,6 mg/kg, 0,8 mg/kg, 1 mg/kg, 1,33 mg/kg, 1,75 mg/kg

20 tai 2,0 mg/kg, valinnaisesti, jossa farmaseuttisesti tehokas määrä on 1,0 mg/kg.

9. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-8 mukaisesti, jossa ActRIIB-signaloinnin estäjä annetaan kohteelle:

- 25 (i) kerran 21 päivän välein, kerran 28 päivän välein tai kerran 48 päivän välein;

(ii) laskimonsisäisesti tai ihonalaisesti; tai

(iii) ihonalaisesti kerran 21 päivän välein.

10. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-9 mukaisesti, jossa IgG on IgG1.

30

11. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-9 mukaisesti, jossa ActRIIB-signaloinnin estäjä on

- 35 (i) polypeptidi, joka käsittää SEQ ID NO:11:n mukaisen aminohapposekvenssin;

(ii) polypeptidi, joka käsittää aminohapposekvenssin, joka koostuu SEQ ID NO:11:stä; tai

(iii) polypeptidi, joka koostuu SEQ ID NO:11:ssä esitetystä aminohapposekvenssistä.

5 12. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-11 mukaisesti, jossa kohde on ihminen.

10 13. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-7 mukaisesti, jossa menetelmä käsittää ActRIIB-signaloinnin estäjän antamisen kohteelle annoksena 0,33 mg/kg, 0,45 mg/kg, 0,6 mg/kg, 0,8 mg/kg, 1 mg/kg, 1 mg/kg, 1,33 mg/kg, 1,75 mg/kg tai 2,0 mg/kg, jossa ActRIIB-signaloinnin estäjä annetaan kohteelle ihonalaisesti kerran 21 päivän välein ja jossa
15 ActRIIB-signaloinnin estäjä:

(i) käsittää SEQ ID NO:11:n mukaisen aminohapposekvenssin;

(ii) käsittää aminohapposekvenssin, joka koostuu SEQ ID NO:11:n aminohapposekvenssistä; tai

20 (iii) koostuu SEQ ID NO:11:n aminohapposekvenssistä.

 14. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-13 mukaisesti, jossa ActRIIB-signaloinnin estäjä on formuloitu farmaseuttisesti hyväksyttävän kantaja-aineen kanssa farmaseuttiseksi koostumukseksi.
25

 15. ActRIIB-signaloinnin estäjä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-14 mukaisesti, jossa fragmentti koostuu SEQ ID NO: 9:n aminohapposekvenssistä.
30