



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO



(10) Identifikator
dokumenta:

HR P20220943 T1

HR P20220943 T1

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

(51) MKP:

A61K 47/64 (2017.01)
A61P 21/00 (2006.01)
A61K 31/712 (2006.01)
A61K 31/7125 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 28.10.2022.

(21) Broj predmeta: P20220943T

(22) Datum podnošenja: 13.12.2017.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2017066222
Datum podnošenja međunarodne prijave: 13.12.2017.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 17832401.8
Datum podnošenja europske prijave patenta: 13.12.2017.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2018118599
Datum međunarodne objave: 28.06.2018.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3554553 A1
Datum objave europske prijave patenta: 23.10.2019.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3554553 B1
Datum objave europskog patenta: 20.07.2022.

(31) Broj prve prijave: 201662436182 P (32) Datum podnošenja prve prijave: 19.12.2016. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US
201762443476 P 06.01.2017. US
201762479173 P 30.03.2017. US
201762562080 P 22.09.2017. US

(73) Nositelj patenta: Sarepta Therapeutics, Inc., 215 First Street, Suite 415, Cambridge, MA 02142, US

(72) Izumitelji: Marco A. Passini, 215 First Street, Suite 415, Cambridge, MA 02142, US
Gunnar J. Hanson, 215 First Street, Suite 415, Cambridge, MA 02142, US

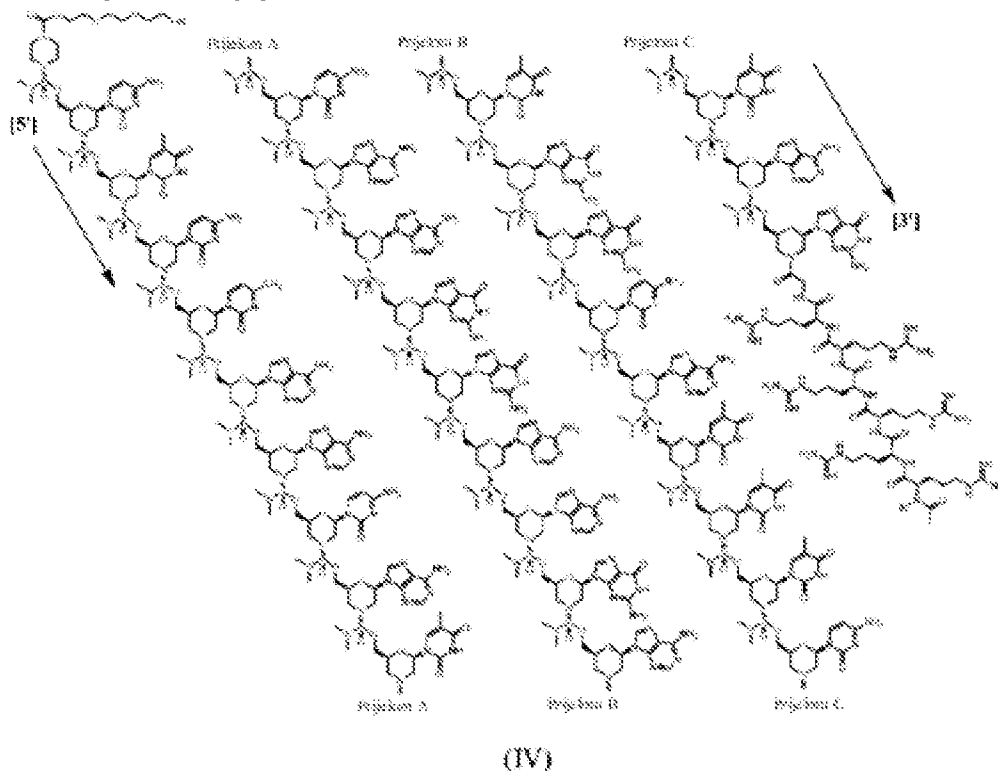
(74) Zastupnik: PRODUCTA d.o.o., 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma: OLIGOMERNI KONJUGATI KOJI PRESKAČU EGZON ZA MIŠIĆNU DISTROFIJU

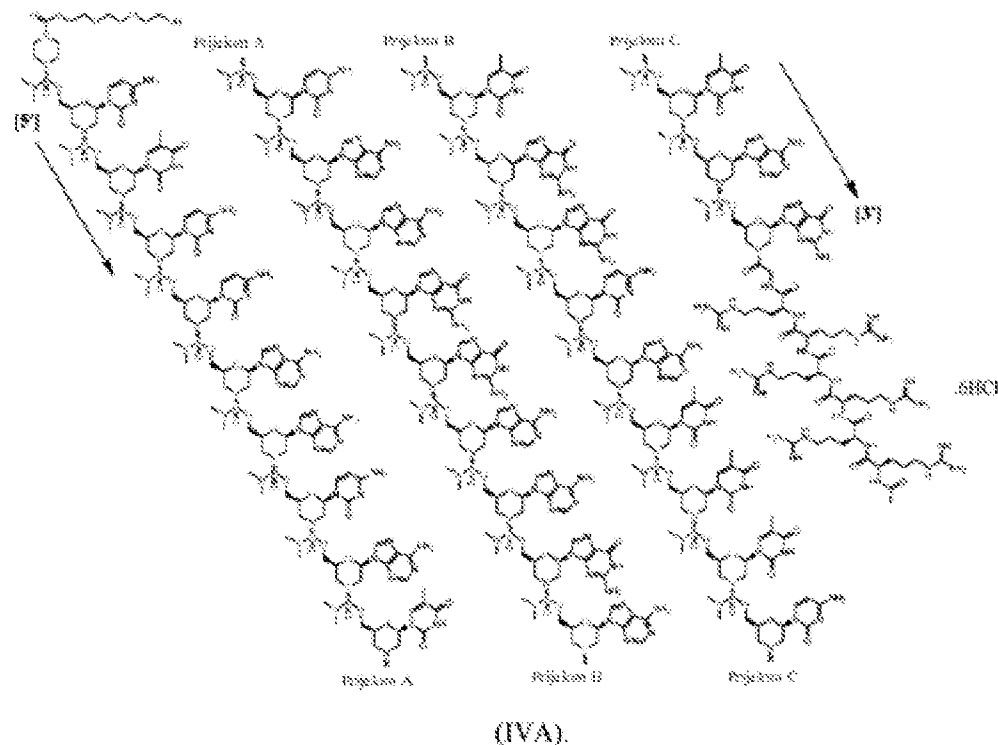
HR P20220943 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Protusmisleni oligomerni konjugat formule (IV):



- 5 ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol.
2. Konjugat protusmislenog oligomera prema zahtjevu 1, naznačen time što je protusmisleni oligomer formule (IVA):



3. Farmaceutski pripravak, naznačen time što sadrži konjugat protusmislenog oligomera prema zahtjevu 1 ili 2, ili njegovu farmaceutski prihvatljivu sol, i farmaceutski prihvatljiv nosač.
- 10 4. Konjugat protusmislenog oligomera ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema zahtjevu 1 ili 2, naznačen time što se koristi u terapiji.
5. Konjugat protusmislenog oligomera ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema zahtjevu 1 ili 2, ili farmaceutski pripravak prema zahtjevu 3, za upotrebu u liječenju Duchenneove mišićne distrofije (DMD) kod

subjekta kojem je to potrebno, pri čemu subjekt ima mutaciju gena distrofina koji je podložan preskakanju egzona 51.

6. Konjugat protusmislenog oligomera ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol prema zahtjevu 1 ili 2, ili farmaceutske pripravak prema zahtjevu 3, za upotrebu u obnavljanju okvira za čitanje mRNA za induciranje proizvodnje distrofina kod subjekta koji ima mutaciju gena za distrofin koja je podložna preskakanju egzona 51.
7. Konjugat protusmislenog oligomera ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol, ili farmaceutske pripravak, za upotrebu prema zahtjevu 5 ili zahtjevu 6, naznačen time što upotreba obuhvaća davanje konjugata protusmislenog oligomera jednom tjedno.
8. Konjugat protusmislenog oligomera ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol, ili farmaceutske pripravak, za upotrebu prema zahtjevu 5 ili zahtjevu 6, naznačen time što upotreba obuhvaća primjenu konjugata protusmislenog oligomera dva puta tjedno.
9. Konjugat protusmislenog oligomera ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol, ili farmaceutske pripravak, za upotrebu prema zahtjevu 5 ili zahtjevu 6, naznačen time što upotreba obuhvaća davanje konjugata protusmislenog oligomera svaki treći tjedan.
10. Konjugat protusmislenog oligomera ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol, ili farmaceutske pripravak, za upotrebu prema zahtjevu 5 ili zahtjevu 6, naznačen time što upotreba obuhvaća davanje konjugata protusmislenog oligomera jednom mjesečno.
11. Farmaceutski pripravak prema zahtjevu 3, naznačen time što se koristi za isključivanje egzona 51 iz pre-mRNA distrofina tijekom obrade mRNA kod subjekta koji ima mutaciju gena za distrofin koji je podložan preskakanju egzona 51.
12. Farmaceutski pripravak prema zahtjevu 3, naznačen time što se koristi za vezanje egzona 51 pre-mRNA distrofina kod subjekta koji ima mutaciju gena distrofina koja je podložna preskakanju egzona 51.