



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:



HR P20241483 T1

HR P20241483 T1

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

(51) MKP:

A61K 48/00 (2006.01)
C12N 15/85 (2006.01)
C12N 15/864 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 03.01.2025.

(21) Broj predmeta: P20241483T

(22) Datum podnošenja: 14.01.2019.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/GB2019050092
Datum podnošenja međunarodne prijave: 14.01.2019.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 19701018.4
Datum podnošenja europske prijave patenta: 14.01.2019.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2019138250
Datum međunarodne objave: 18.07.2019.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3737423 A1
Datum objave europske prijave patenta: 18.11.2020.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3737423 B1
Datum objave europskog patenta: 18.09.2024.

(31) Broj prve prijave: 201800546 (32) Datum podnošenja prve prijave: 12.01.2018. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: GB

(73) Nositelj patenta: **UCL Business Ltd, University College London, Gower Street, WC1E 6BT London, GB**

(72) Izumitelji: **Robin Ali, UCL Institute of Ophthalmology, 11-43 Bath Street, EC1V 9EL London Greater London, GB**
Takaaki Matsuki, UCL Institute of Ophthalmology, 11-43 Bath Street, EC1V 9EL London, Greater London, GB
Alexander Smith, UCL Institute of Ophthalmology, 11-43 Bath Street, EC1V 9EL London, Greater London, GB
Anastasios Georgiadis, UCL Institute of Ophthalmology, 11-43 Bath Street, EC1V 9EL London, Greater London, GB

(74) Zastupnik: **Odvjetnik Tomislav Hadžija, u suradnji sa DENNEMEYER & ASSOCIATES, 10000 Zagreb, HR**

(54) Naziv izuma: **SASTAVI I POSTUPCI ZA LIJEČENJE POREMEĆAJA MREŽNICE**

HR P20241483 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Transkripcijska kontrolna jedinica (TCU) od 2500 nukleotida u dužini koja sadrži u 5' do 3' pravcu:
 - (a) područje kontrole lokusa (LCR) koji sadrži
 - (i) SEQ ID NO: 1; ili
 - (ii) sekvencu koja ima bar 90% identičnosti u sekvenci sa spomenutom sekvencom (a)(i); i
 - (b) element promotora koji sadrži
 - (i) bar posljednjih 200 nukleotida SEQ ID NO: 17; ili
 - (ii) bar posljednjih 200 nukleotida SEQ ID NO: 2 pri čemu nukleotidi koji odgovaraju nukleotidima 1934 do 1939 SEQ ID NO: 2 su zamijenjeni sa SEQ ID NO: 16; ili
 - (iii) sekvencu koja ima bar 90% identičnosti u sekvenci sa spomenutom sekvencom (b)(ii), pri čemu nukleotidi koji odgovaraju nukleotidima 1934 do 1939 SEQ ID NO: 2 su zamijenjeni sa SEQ ID NO: 16; spomenuta TCU pokazuje aktivnost promotora koji je specifičan za fotoreceptor kupaste stanice.
2. TCU prema patentnom zahtjevu 1, gdje (b) sadrži:
 - (i) bar posljednjih 500 nukleotida SEQ ID NO: 17, ili
 - (ii) bar posljednjih 500 nukleotida SEQ ID NO: 2 gdje nukleotidi koji odgovaraju nukleotidima 1934 do 1939 SEQ ID NO: 2 su zamijenjeni sa SEQ ID NO: 16, ili
 - (iii) sekvencu koja ima bar 90% identičnosti u sekvenci sa spomenutom sekvencom (ii), gdje nukleotidi koji odgovaraju nukleotidima 1934 do 1939 SEQ ID NO: 2 su zamijenjeni sa SEQ ID NO: 16; spomenuta TCU pokazuje aktivnost promotora specifičnog za fotoreceptor kupaste stanice.
3. TCU prema patentnom zahtjevu 1 ili 2, gdje element promotora sadrži bar posljednjih 200 nukleotida SEQ ID NO: 17.
4. TCU prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, gdje element promotora sadrži bar posljednjih 500 nukleotida SEQ ID NO: 17.
5. TCU prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, gdje (b) sadrži najmanje 200 nukleotida SEQ ID NO: 3.
6. TCU prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, gdje (b) sadrži:
 - (i) SEQ ID NO: 3; ili
 - (ii) sekvencu koja ima najmanje 90% identičnosti u sekvenci sa spomenutom sekvencom (i); spomenuta TCU pokazuje aktivnost promotora koji je specifičan za fotoreceptor kupaste stanice, opcionalno gdje TCU sadrži SEQ ID NO: 4 ili SEQ ID NO: 15.
7. TCU prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1 do 5, pri čemu element promotora sadrži SEQ ID NO: 5, opcionalno gdje TCU sadrži SEQ ID NO: 6.
8. TCU prema patentnom zahtjevu 1, pri čemu TCU sadrži:
 - (a) LCR koji se sastoji iz SEQ ID NO: 1; i
 - (b) element promotora koji se sastoji iz SEQ ID NO: 3.
9. Konstrukcija izraza koja sadrži TCU prema bilo kojem od prethodnih patentnih zahtjeva, operativno povezan za sekvencu koja će biti izražena na način specifičan za fotoreceptor kupaste stanice.
10. Konstrukcija izraza prema patentnom zahtjevu 9, pri čemu operativno povezana sekvenca je *CNGA3*, *CNGB3*, *PDE6C*, *PDE6H*, *GNA22*, *KCNV2* ili *CACNA2D4*, opcionalno gdje:
 - (i) operativno povezana sekvenca se sastoji iz SEQ ID NO: 7, 8, 9, 10, 11, 12, 13 ili 14, ili koja ima najmanje 80% identičnost u sekvenci sa SEQ ID NO: 7, 8, 9, 10, 11, 12, 13 ili 14 i ima sposobnost da spasi funkciju fotoreceptora kupaste stanice; i/ili
 - (ii) operativno povezana sekvenca se sastoji iz SEQ ID NO: 8, ili koja ima najmanje 80% identičnosti u sekvenci sa SEQ ID NO: 8 i ima sposobnost da spasi funkciju fotoreceptora kupaste stanice.
11. Vektor koji sadrži TCU prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1 do 8 ili konstrukciju izraza prema patentnom zahtjevu 9 ili 10.
12. Vektor prema patentnom zahtjevu 11 koji je virusni vektor, opcionalno gdje je vektor adeno-asocirani virusni (AAV) vektor.
13. Vektor AAV prema patentnom zahtjevu 12, pri čemu vektor sadrži genom AAV ili njegov derivat, opcionalno pri čemu vektor sadrži genom AAV ili njegov derivat, i gdje kapsida AAV je izvedena iz AAV8, poželjno gdje kapsida AAV je izvedena iz AAV8 i konstrukcija izraza je definirana prema patentnom zahtjevu 9 ili 10, poželjno gdje je operativno povezana sekvenca *CNGA3*.
14. Vektor prema patentnom zahtjevu 13, gdje:
 - (a) navedeni derivat je himerni, miješani ili kapsidom modificirani derivat; i/ili
 - (b) navedeni AAV genom je iz prirodno izvedenog serotipa ili izolata ili klada AAV, opcionalno pri čemu je spomenuti AAV genom iz AAV serotipa 2 (AAV2), AAV serotipa 4 (AAV4) ili AAV serotipa 8 (AAV8) i/ili pri čemu je kapsida izvedena iz AAV8, poželjno gdje je genom izveden iz AAV2, a kapsida je izvedena iz AAV8.
15. Stanica domaćina koja sadrži vektor prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 11 do 14 ili proizvodi virusni vektor prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 11 do 14, opcionalno gdje je stanica domaćina HEK293 ili HEK293T stanica.
16. Farmaceutski sastav koji sadrži vektor prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 11 do 14 i farmaceutski prihvatljiv nosač.

17. Vektor prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 11 do 14 za upotrebu u postupku prevencije ili liječenja poremećaja mrežnice.
18. Vektor za upotrebu prema patentnom zahtjevu 17, gdje:
- 5 (a) poremećaj mrežnice je akromatopsija; i/ili
- (b) liječenje ili prevencija je primjenom vektora prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 11 do 14 pacijentu direktnom retinalnom, subretinalnom ili intravitrealnom injekcijom, opcionalno pri čemu se navedeni vektor primjenjuje direktno u retinalni, subretinalni prostor ili intravitrealni prostor.