



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:



HR P20231515 T1

HR P20231515 T1

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

(51) MKP:

C12N 15/113 (2010.01)
A61K 31/712 (2006.01)
A61K 31/7125 (2006.01)
A61P 21/00 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 01.03.2024.

(21) Broj predmeta: P20231515T

(22) Datum podnošenja : 16.07.2020.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2020042312
Datum podnošenja međunarodne prijave: 16.07.2020.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 20753556.8
Datum podnošenja europske prijave patenta: 16.07.2020.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2021016032
Datum međunarodne objave: 28.01.2021.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3999643 A1
Datum objave europske prijave patenta: 25.05.2022.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3999643 B1
Datum objave europskog patenta: 22.11.2023.

(31) Broj prve prijave: 201962876360 P (32) Datum podnošenja prve prijave: 19.07.2019. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US

(73) Nositelj patenta:

(72) Izumitelji:

Biogen MA Inc., 225 Binney Street, Cambridge, MA 02142, US
Kenneth Swope Loveday, Biogen MA Inc., 225 Binney Street, Cambridge, MA 02142, US
Fengju Judy Bai, Biogen MA Inc., 225 Binney Street, Cambridge, MA 02142, US
Lilly East, Biogen MA Inc., 225 Binney Street, Cambridge, MA 02142, US
Wildon R. Farwell, Biogen MA Inc., 225 Binney Street, Cambridge, MA 02142, US

(74) Zastupnik:

ZMP IP d.o.o., 10000 Zagreb, HR

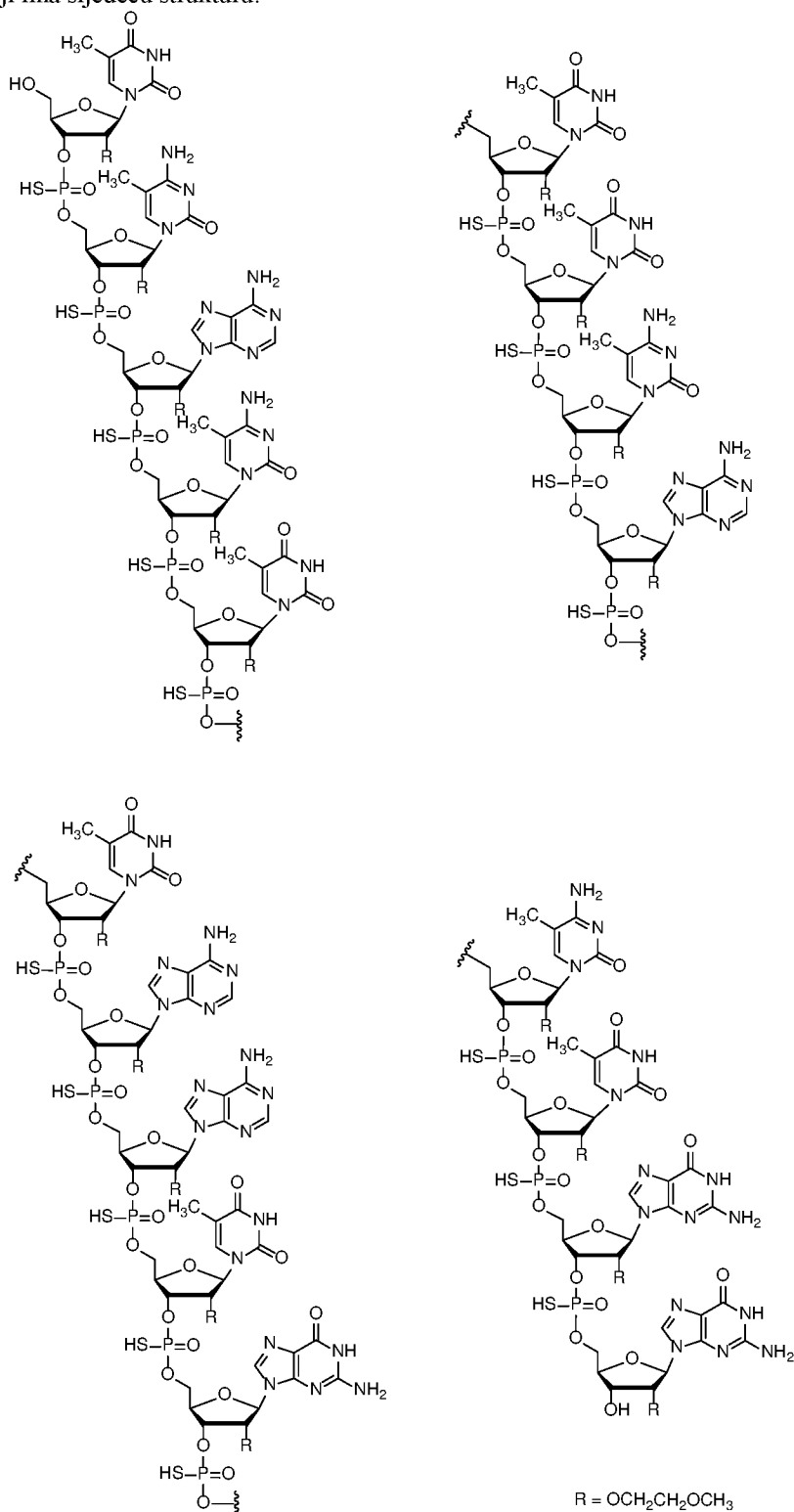
(54) Naziv izuma:

POSTUPCI LIJEČENJA ILI PREVENCIJE SPINALNE MIŠIĆNE ATROFIJE

HR P20231515 T1

PATENTNI ZAHTJEVI

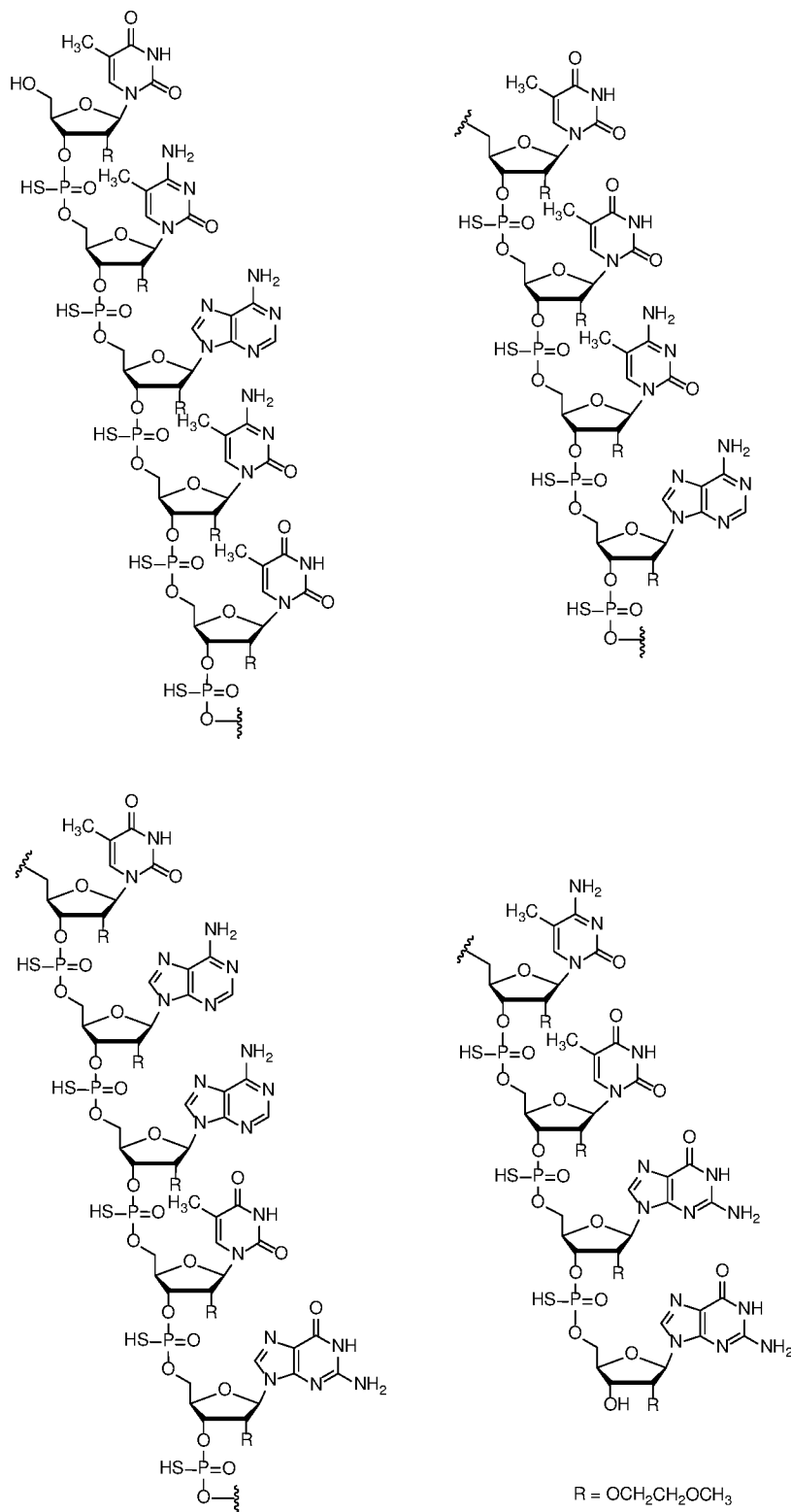
1. Antisens spoj koji ima sljedeću strukturu:



ili njegova sol za uporabu u liječenju spinalne mišićne atrofije (SMA) kod ljudskog subjekta kojem je to potrebno, liječenje se sastoji od davanja najmanje dvije udarne doze antisens spoja ili njegove soli intratekalno ljudskom subjektu, pri čemu najmanje dvije udarne doze sadrže:

- (i) prvu udarnu dozu antisens spoja ili njegove soli koja je ekvivalentna 50 mg antisens spoja; i
- (ii) drugu udarnu dozu antisens spoja ili njegove soli koja je ekvivalentna 50 mg antisens spoja, dana 10 do 20 dana nakon davanja prve udarne doze.

2. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 1, liječenje nadalje sadrži intratekalno davanje ljudskom subjektu najmanje jedne doze održavanja, pri čemu je najmanje jedna doza održavanja ekvivalentna 28 mg antisens spoja.
- 5 3. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 1, liječenje nadalje sadrži intratekalno davanje ljudskom subjektu doza održavanja antisens spoja ili njegove soli, počevši oko 4 mjeseca nakon davanja druge udarne doze i nastavljajući jednom otprilike svaka 4 mjeseca nakon toga, pri čemu je svaka doza održavanja ekvivalentna 28 mg antisens spoja.
- 10 4. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 1, liječenje nadalje sadrži intratekalno davanje doza održavanja ljudskom subjektu antisens spoja ili njegove soli, počevši 4 mjeseca nakon davanja druge udarne doze i nastavljajući jednom svaka 4 mjeseca nakon toga, pri čemu je svaka doza održavanja ekvivalentna 28 mg antisens spoja.
5. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 4, pri čemu se druga udarna doza daje 14 dana nakon davanja prve udarne doze.
6. Antisens spoj koji ima sljedeću strukturu:



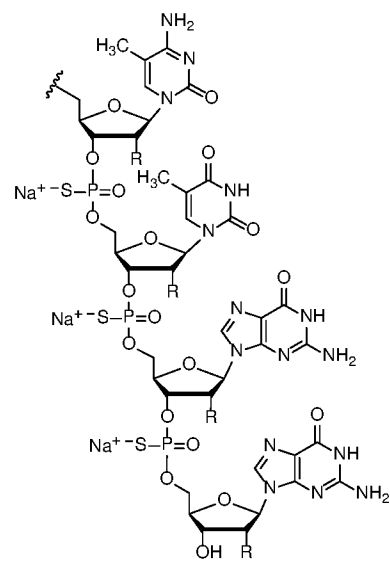
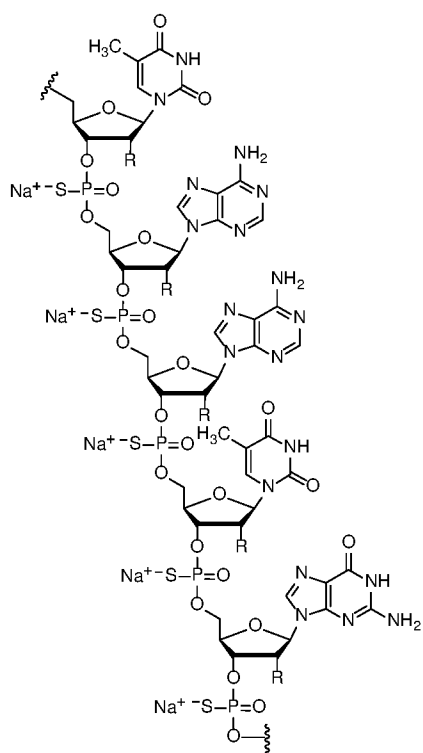
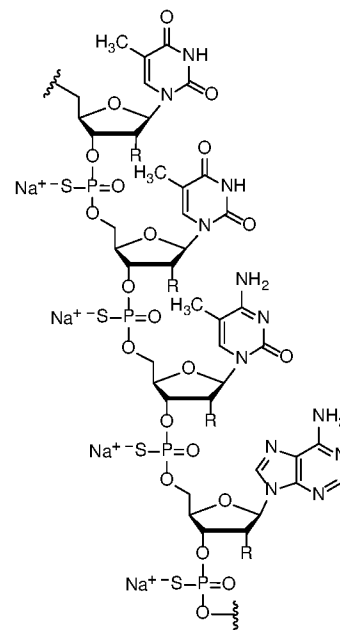
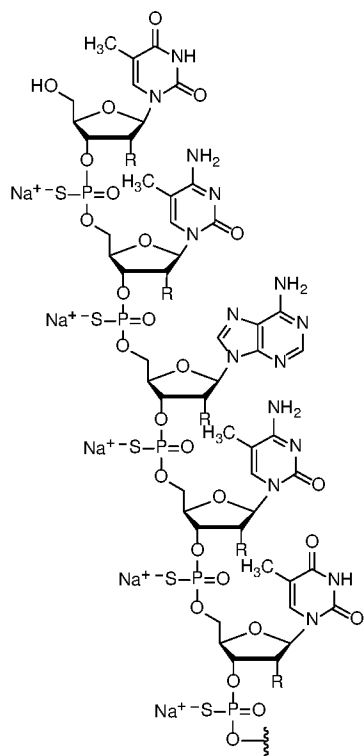
ili njihova sol za uporabu u liječenju spinalne mišićne atrofije (SMA) kod ljudskog subjekta kojem je to potrebno, pri čemu je ljudskom subjektu prethodno dana jedna ili više doza antisens spoja ili njegove soli, i gdje su jedna ili više prethodno danih doza bile ekvivalentne 12 mg antisens spoja, i

liječenje sadrži intratekalno davanje ljudskom subjektu:

(i) udarne doze antisens spoja ili njegove soli koja je ekvivalentna 50 mg antisens spoja, dana oko 4 mjeseca nakon davanja posljednje prethodno primijenjene doze koja je ekvivalentna 12 mg antisens spoja; i

(ii) doze održavanja antisens spoja ili njegove soli, počevši oko 4 mjeseca nakon davanja udarne doze i nastavljajući jednom svaka 4 mjeseca nakon toga, pri čemu je svaka doza održavanja ekvivalentna 28 mg antisens spoja.

7. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 6, pri čemu je ljudskom subjektu prethodno dana najmanje jedna, najmanje dvije, najmanje tri, najmanje četiri, najmanje pet, ili jedna, dvije, tri, četiri ili pet doza antisens spoja ili njegove soli, pri čemu je svaka od prethodno danih doza bila ekvivalentna 12 mg antisens spoja.
8. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 6 ili 7, pri čemu se udarna doza antisens spoja ili njegove soli daje 4 mjeseca nakon davanja zadnje prethodno dane doze koja je ekvivalentna 12 mg antisens spoja.
9. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 6 do 8, pri čemu se doze održavanja antisens spoja ili njegove soli daju počevši 4 mjeseca nakon davanja udarne doze i nastavljajući jednom svaka 4 mjeseca nakon toga.
10. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 6, pri čemu je ljudskom subjektu prethodno dano najmanje pet doza antisens spoja ili njegove soli, gdje je svaka od zadnjih pet prethodno danih doza bila ekvivalentna 12 mg antisens spoja.
11. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 6, pri čemu su ljudskom subjektu prethodno dane najmanje četiri doza antisens spoja ili njegove soli, gdje je svaka od zadnjih četiri prethodno danih doza bila ekvivalentna 12 mg antisens spoja.
12. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 6, pri čemu su ljudskom subjektu prethodno dane četiri doze antisens spoja ili njegove soli, gdje je svaka od prethodno danih doza bila ekvivalentna 12 mg antisens spoja.
13. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema zahtjevu 6, pri čemu je ljudskom subjektu prethodno dana jedna doza antisens spoja ili njegove soli, gdje je prethodno dana doza bila ekvivalentna 12 mg antisens spoja.
14. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 13, pri čemu ljudski subjekt ima
 - (i) SMA s infantilnim početkom (SMA tipa I);
 - (ii) kasniji SMA (tip II SMA ili tip III SMA); ili
 - (iii) SMA s početkom u odrasloj dobi (SMA tipa IV).
15. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 13, pri čemu je ljudski subjekt presimptomatski za SMA.
16. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 15, pri čemu se ljudskom subjektu daje antisens spoj ili njegova sol uporabom igle za spinalnu anesteziju.
17. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 16, pri čemu se antisens spoj ili njegova sol primjenjuje u volumenu injekcije od 5.0 mL.
18. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 17, pri čemu je antisens spoj ili njegova sol otopljen u fosfatnom puferiranom slanom rastvoru (PBS), ili u umjetnoj cerebrospinalnoj tekućini (aCSF).
19. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 18, pri čemu je sol antisens spoja natrijeva sol.
20. Antisens spoj ili njegova sol za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 18, pri čemu sol antisens spoja ima sljedeću strukturu:



R = OCH₂CH₂OCH₃