



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:



HR P20211024 T4

HR P20211024 T4

(12) **PRIJEVOD IZMIJENJENIH PATENTNIH
ZAHTJEVA EUROPSKOG PATENTA**

(51) MKP:

C07K 14/71 (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)
C07K 14/015 (2006.01)
C12N 15/86 (2006.01)
A61P 25/00 (2006.01)
A61P 9/00 (2006.01)
A61P 25/08 (2006.01)
A61P 25/14 (2006.01)
A61P 25/16 (2006.01)
A61P 27/02 (2006.01)
A61P 25/28 (2006.01)
A61P 27/06 (2006.01)
A61P 35/00 (2006.01)
A61P 43/00 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 01.10.2021.
(46) Datum objave prijevoda izmijenjenih patentnih zahtjeva: 20.06.2025.

(21) Broj predmeta: P20211024T

(22) Datum podnošenja : 02.05.2015.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2015028966
Datum podnošenja međunarodne prijave: 02.05.2015.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 15723386.7
Datum podnošenja europske prijave patenta: 02.05.2015.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2015168666
Datum međunarodne objave: 05.11.2015.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3137497 A2
Datum objave europske prijave patenta: 08.03.2017.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3137497 B1
Datum objave europskog patenta: 07.04.2021.

(97) Broj objave izmijenjenog europskog patenta: EP 3137497 B2
Datum objave izmijenjenog europskog patenta: 05.03.2025.

(31) Broj prve prijave: 201461988131 P (32) Datum podnošenja prve prijave: 02.05.2014. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US
201562114575 P 10.02.2015. US

(73) Nositelj patenta:

(72) Izumitelji:

Genzyme Corporation, 50 Binney Street, Cambridge, MA 02142, US
Abraham Scaria, c/o Sanofi, 55 Corporate Drive, Mail Code: 55A-505A, Bridgewater, NJ 08807, US
Jennifer Sullivan, c/o Sanofi, 55 Corporate Drive, Mail Code: 55A-505A, Bridgewater, NJ 08807, US
Lisa M. Stanek, c/o Sanofi, 55 Corporate Drive, Mail Code: 55A-505A, Bridgewater, NJ 08807, US
Lamya Shihabuddin, c/o Sanofi, 55 Corporate Drive, Mail Code: 55A-505A, Bridgewater, NJ 08807, US

(74) Zastupnik:

PRODUCTA d.o.o., 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma:

AAV VEKTORI ZA GENSKU TERAPIJU MREŽNICE I CNS-A

HR P20211024 T4

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Čestica rekombinantnog adeno-povezanog virusa (rAAV) za uporabu u postupku liječenja očnog poremećaja kod sisavaca, navedeni postupak obuhvaća isporuku heterologne nukleinske kiseline u oko pojedinca, pri čemu navedeni postupak obuhvaća davanje navedene čestice rekombinantnog adeno-povezanog virusa (rAAV) u subretinu pojedinca, pri čemu čestica rAAV sadrži
 - a) rekombinantni AAV2 (rAAV2) kapsid koji sadrži kapsidne proteine AAV2 koji sadrže jednu ili više supstitucija aminokiselina na jednom ili više položaja R484, R487, K527, K532, R585 i/ili R588, numeriranje se temelji na VP1 numeriranju od AAV2,
 - pri čemu je jedna od više supstitucija aminokiselina s hidrofobnim aminokiselinskim ostatkom, i
 - pri čemu jedna ili više aminokiselinskih supstitucija smanjuje vezivanje čestica rAAV na heparan sulfat proteoglikan, i
 - b) vektor rAAV koji sadrži heterolognu nukleinsku kiselinu i najmanje jedno obrnuto ponavljanje AAV završetka.
2. Pripravak koji sadrži česticu rekombinantnog adeno-povezanog virusa (rAAV) za uporabu u postupku za liječenje očnih poremećaja kod pojedinca, pri čemu navedeni postupak obuhvaća subretinalnu dostavu navedenog pripravka u mrežnicu pojedinca, pri čemu čestice rAAV sadrže
 - a) kapsid rAAV2 koji sadrži kapsidne proteine AAV2 koji sadrže jednu ili više supstitucija aminokiselina na jednom ili više položaja R484, R487, K527, K532, R585 i/ili R588, numeriranje se temelji na VP1 numeriranju od AAV2,
 - pri čemu je jedna od više supstitucija aminokiselina s hidrofobnim aminokiselinskim ostatkom, i
 - pri čemu jedna ili više aminokiselinskih supstitucija smanjuje vezivanje čestica rAAV na heparan sulfat proteoglikan, i
 - b) vektor rAAV koji sadrži heterolognu nukleinsku kiselinu i najmanje jedno ponavljanje AAV završetka.
3. Čestica rAAV za uporabu prema patentnim zahtjevima 1, ili pripravak za uporabu prema patentnom zahtjevu 2, naznačeni time što je heterologna nukleinska kiselina operativno povezana s promotorom pogodnim za ekspresiju terapijskog polipeptida ili terapijske nukleinske kiseline u jednom ili više tipova stanica mrežnice.
4. Čestica rAAV za uporabu prema patentnom zahtjevu 3, ili pripravak za uporabu prema patentnom zahtjevu 3, naznačeni time što je stanica mrežnice fotoreceptorska stanica.
5. Pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-4, naznačen time što se heterologna nukleinska kiselina koristi za liječenje očnih poremećaja kod čovjeka odabranog iz skupine koju čine autosomna recesivna ozbiljna rana pojava degeneracije mrežnice (Leberova urođena amauroza), urođena akromatopsija, Stargardtova bolest, Bestova bolest, Doineova bolest, distrofija konusa, retinitis pigmentosa, X-vezana retinoschiza, Usherov sindrom, starosna makularna degeneracija, atrofična starosna makularna degeneracija, neovaskularna AMD, dijabetička makulopatija, proliferativna dijabetička retinopatija (PDR), cistoidni makularni edem, središnja serozna retinopatija, odvajanje mrežnice, intraokularna upala, glaukom, i stražnji uveitis.
6. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, i 3-4, ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-5, naznačeni time što jedna ili više aminokiselinskih supstitucija smanjuje vezivanje čestica rAAV na heparan sulfat proteoglikan za oko najmanje 10%, oko najmanje 25%, oko najmanje 50%, oko najmanje 75%, ili oko najmanje 100%.
7. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, 3-4 i 6, ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-6, naznačeni time što jedna ili više aminokiselinskih supstitucija obuhvaća supstituciju ostatka arginina ili ostatka lizina s ostatkom alanina.
8. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, 3-4 i 6-7, ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-7, naznačeni time što jedna ili više aminokiselinskih supstitucija obuhvaća supstitucije na položajima R484 i R487 ili na položajima R585 i R588, numeriranje se temelji na VP1 od AAV2.
9. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, 3-4, i 6-8, ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-8, naznačeni time što kapsidni proteini AAV2 sadrže supstitucije aminokiseline R585A i R588A, numeriranje se temelji na VP1 od AAV2.
10. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, 3-4, i 6-9, ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-9, naznačeni time što kapsidni proteini AAV2 sadrže supstituciju aminokiseline K532A, numeriranje se temelji na VP1 od AAV2.
11. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, 3-4, i 6-10, ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-10, naznačeni time što čestica rAAV sadrži jedan ili više kapsidnih proteina AAV2 koji imaju najmanje oko 90%, najmanje oko 91%, najmanje oko 92%, najmanje oko 93%, najmanje oko 94%, najmanje oko 95%, najmanje oko 96%, najmanje oko 97%, najmanje oko 98%, najmanje oko 99%, ili 100% identičnosti sekvence sa SEQ ID NO: 2, 4, ili 6.
12. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, 3-4 i 6-11 ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-11, naznačeni time što heterologna nukleinska kiselina kodira polipeptid odabran iz skupine koja sadrži antioksidans, neurotrofni faktor, antiapoptotički faktor, anti-angiogeni faktor i protuupalni faktor.

13. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, 3-4 i 6-11 ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-11, naznačeni time što heterologna nukleinska kiselina kodira terapijsku nukleinsku kiselinu.
14. Čestica rAAV za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 1, 3-4 i 6 ili pripravak za uporabu prema bilo kojem od patentnih zahtjeva 2-13, naznačeni time što je vektor rAAV samo-komplementarni vektor rAAV.