



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:

HR P20190387 T1



HR P20190387 T1

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

(51) MKP:

C12N 15/113 (2010.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 31.05.2019.

(21) Broj predmeta: P20190387T

(22) Datum podnošenja zahtjeva : 28.02.2019.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 16172354.9
Datum podnošenja europske prijave patenta: 23.10.2009.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 3133160 A1
Datum objave europske prijave patenta: 22.02.2017.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 3133160 B1
Datum objave europskog patenta: 12.12.2018.

(31) Broj prve prijave: 108416 P

(32) Datum podnošenja prve prijave: 24.10.2008.

(33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US

(62) Broj i datum prvobitne prijave u slučaju podjele patenta: 09752572.9 23.10.2009.

14157806.2 23.10.2009.

(73) Nositelj patenta:

(72) Izumitelji:

Sarepta Therapeutics, Inc., 215 First Street, Cambridge, MA 02142, US

Peter Sazani, 12809 NE 201st. Place, Bothell, WA 98011, US

Ryszard Kole, c/o Sarepta Therapeutics, 215 First Street, Cambridge, MA 02142, US

(74) Zastupnik:

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

(54) Naziv izuma:

PRIPRAVCI KOJI PRESKAČU EKSON ZA DMD

HR P20190387 T1

PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Protusmisleni oligonukleotid koji sadrži 20-35 morfolino podjedinica povezanih s vezama među podjedinicama koje sadrže fosfor koje spajaju morfolino dušik jedne podjedinice sa 5' 'egzocikličkim ugljikom susjedne podjedinice, koji sadrži baznu sekvencu SEQ ID NO: 382, ili sekvencu koja ima s njom barem 80% identičnosti sekvence, pri čemu su timinske baze proizvoljno uracilne baze, te pri čemu je protusmisleni oligonukleotid komplementaran s ljudskim distrofinom pred-mRNA da se inducira preskakanje eksona 52; ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol.
2. Protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema zahtjevu 1, naznačen time što protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol sadrži 20-25 morfolino podjedinica.
3. Protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema zahtjevu 1 ili zahtjevu 2, naznačen time što ima uracilne baze (U) na mjestu timinskih baza (T).
4. Protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema bilo kojem od zahtjeva 1-3, naznačen time što sadrži bazu 5-metilcitozina.
5. Protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema zahtjevima 1-4, naznačen time što je oligonukleotid konjugiran na lanac polietilen glikola.
6. Protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema zahtjevima 1-4, naznačen time što je oligonukleotid konjugiran na dio trietilenglikola.
7. Protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema zahtjevima 1-4, naznačen time što je oligonukleotid konjugiran na lanac polietilen glikola vezan preko supstituiranog dijela piperazinila.
8. Protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema zahtjevima 1-4 naznačen time što je protusmisleni oligonukleotid konjugiran na dio trietilenglikola vezan preko supstituiranog dijela piperazinila.
9. Farmaceutski pripravak naznačen time što sadrži protusmisleni oligonukleotid ili njegovu farmaceutski prihvatljivu sol prema bilo kojem od prethodnih zahtjeva i farmaceutski prihvatljiv nosač i/ili razrjeđivač.
10. Protusmisleni oligonukleotid ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 8, ili farmaceutski pripravak prema zahtjevu 9 naznačen time što se koristi u liječenju mišićne distrofije.
11. Protusmisleni oligonukleotid ili farmaceutski pripravak za uporabu prema zahtjevu 10, naznačen time što je mišićna distrofija Duchenneova mišićna distrofija (DMD).
12. Protusmisleni oligonukleotid ili farmaceutski pripravak za uporabu prema zahtjevu 10, naznačen time što je mišićna distrofija Beckerova mišićna distrofija (BMD).