



(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator
dokumenta:



HR P20151409 T1

HR P20151409 T1

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

(51) MKP:

A01N 43/62 (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)
A61K 38/47 (2006.01)
A61K 38/48 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 29.01.2016.

(21) Broj predmeta: P20151409T

(22) Datum podnošenja zahtjeva u HR: 23.12.2015.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2008064017
Datum podnošenja međunarodne prijave: 16.05.2008.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 08755799.7
Datum podnošenja europske prijave patenta: 16.05.2008.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2008144591
Datum međunarodne objave: 27.11.2008.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 2154969 A2
Datum objave europske prijave patenta: 24.02.2010.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 2154969 B1
Datum objave europskog patenta: 18.11.2015.

(31) Broj prve prijave: 930462 P
929554 P

(32) Datum podnošenja prve prijave: 16.05.2007.
03.07.2007.

(33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US
US

(73) Nositelj patenta:

The Brigham and Women's Hospital, Inc., 75 Francis Street, Boston, MA 02115, US

(72) Izumitelji:

Michael Schlossmacher, 809 Curlew Place, Ottawa, ON K1J 9M9, CA
Valerie Cullen, 25 Bayside Road, Quincy, MA 02171, US
Lamya Shihabuddin, 1933 Commonwealth Avenue, Brighton, MA 02135, US

(74) Zastupnik:

Seng H. Cheng, 10 Jennison Circle, Natick, MA 01760, US
Odvjetnica Gorana Grubišić, 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma:

LIJEČENJE SINUKLEINOPATIJA

HR P20151409 T1

PATENTNI ZAHTJEVI

- 5 1. Primjena jednog ili oba od:
 kiselog-beta-glukocerebrozidaznog (acid-beta-glucocerebrosidase - GBA) polipeptida polinukleotida koji kodira
 kiseli-beta-glukocerebrozidazni (GBA) polipeptid, u pripremi lijeka koji se koristi u metodi za liječenje subjekta
 koji ima sinukleinopatiju, ali ne i klinički dijagnosticiranu lizozomsku bolest skladištenja, gdje je polipeptid ili
 polinukleotid administriran u količini efikasnoj da smanji nivo α -sinukleina u centralnom ili perifernom nervnom
 10 sistemu subjekta, ili oba, ili u lizozomskom odjeljku subjekta.
2. Primjena patentnog zahtjeva 1, u kojem je sinukleinopatija primarna sinukleinopatija.
3. Primjena patentnog zahtjeva 2, u kojem sinukleinopatija sadrži koju ili više od sljedećih bolesti:
 Parkinsonova bolest (PD), sporadična ili nasljedna demencija sa Levijevim tijelima (sporadic or heritable dementia
 with Lewy bodies - DLB), čisti autonomni poremećaj (pure autonomic failure - PAF) sa taloženjem α -sinukleina,
 15 multipla sistemska atrofija (MSA), nasljedna neurodegeneracija sa taloženjem željeza u mozgu, i sporadično
 oboljenje Levijevih tijela u poodmakloj životnoj dobi.
4. Primjena patentnog zahtjeva 1, u kojem je sinukleinopatija sekundarna sinukleinopatija.
5. Primjena patentnog zahtjeva 4, u kojem sinukleinopatija sadrži bilo koju ili više od sljedećih bolesti:
 Alzheimerova bolest varijanti Levijevih tijela, Downov sindrom, progresivna supranuklearna paraliza, esencijalni
 20 tremor sa Levijevim tijelima, familijarni parkinsonizam sa ili bez demencije, demencija povezana sa tau genom ili
 progranulin genom sa ili bez parkinsonizma, Creutzfeldt-Jakobova bolest; goveđa spongiformna encefalopatija,
 sekundarna Parkinsonova bolest, parkinsonizam nastao uslijed izlaganja neurotoksinima, parkinsonizam induciran
 lijekovima sa taloženjem α -sinukleina; sporadična ili nasljedna spinocerebelarna ataksija, amiotrofična lateralna
 skleroza (ALS), i idiopatski poremećaj procesa spavanja brzog kretanja oka.
- 25 6. Primjena patentnog zahtjeva 1, koja dalje sadrži administraciju jednog ili više agenasa koji pojačavaju autofagiju α -
 sinukleinskih kompleksa, ili polipeptid koji pojačava proces razlaganja α -sinukleinskih kompleksa unutar lizozoma.
7. Primjena patentnog zahtjeva 6, u kojem agens sadrži mTOR inhibitor.
8. Primjena patentnog zahtjeva 6, u kojem agens sadrži rapamicin ili analog rapamicina.
9. Primjena patentnog zahtjeva 6, u kojem agens sadrži jedan ili više od everolimusa, ciklosporina, FK506, hsc70, N-
 30 oktil-4-epi- β -valienamina, i glicerola.
10. Primjena patentnog zahtjeva 6, gdje agens sadrži mali molekul, veliki molekul, peptid, antitelo, nukleinsku kiselinu,
 ili njihov biološki aktivan fragment.
11. Jedan ili oba od:
 kiselog-beta-glukocerebrozidaznog (GBA) polipeptida, i
 35 polinukleotida koji kodira kiseli-beta-glukocerebrozidazni (GBA) polipeptid
 za primjenu u metodi liječenja sinukleinopatije koja nije klinički dijagnosticirana lizozomska bolest skladištenja.
12. Jedan ili oba od:
 kiselog-beta-glukocerebrozidaznog (GBA) polipeptida, i
 polinukleotida koji kodira kiseli-beta-glukocerebrozidazni (GBA) polipeptid, u pripremi lijeka za primjenu u
 40 metodi liječenja subjekta sa jednim ili više sljedećih oboljenja:
 Parkinsonova bolest (PD), sporadična ili nasljedna demencija sa Levijevim tijelima (DLB), čisti autonomni
 poremećaj (PAF) sa taloženjem α -sinukleina, multipla sistemska atrofija (MSA), nasljedna neurodegeneracija
 sa taloženjem željeza u mozgu, sporadično oboljenje Levijevih tijela u poodmakloj životnoj dobi,
 45 Alzheimerova bolest varijanti Levijevih tijela, Downov sindrom, esencijalni tremor sa Levijevim tijelima,
 familijarni parkinsonizam sa ili bez demencije, demencija povezana sa tau genom ili progranulin genom sa ili
 bez parkinsonizma, Creutzfeldt-Jakobova bolest; goveđa spongiformna encefalopatija, sekundarna
 Parkinsonova bolest, parkinsonizam nastao usijed izlaganja neurotoksinima, parkinsonizam induciran
 lijekovima sa taloženjem α -sinukleina; sporadična ili nasljedna spinocerebelarna ataksija, amiotrofična
 50 lateralna skleroza (ALS), i idiopatski poremećaj procesa spavanja brzog kretanja oka, gdje je polipeptid ili
 polinukleotid administriran u količini efikasnoj da smanji nivo α -sinukleina u centralnom ili perifernom
 nervnom sistemu subjekta, ili oba, ili u lizozomskom odjeljku subjekta.
13. Jedan ili oba od:
 kiselog-beta-glukocerebrozidaznog (GBA) polipeptida, i
 polinukleotida koji kodira kiseli-beta-glukocerebrozidazni (GBA) polipeptid, za primjenu u metodi liječenja
 55 Parkinsonove bolesti (PD), sporadične ili nasljedne demencije sa Levijevim tijelima (DLB); čistog autonomnog
 poremećaja (PAF) sa taloženjem α -sinukleina, multiple sistemske atrofije (MSA), nasljedne neurodegeneracije sa
 taloženjem željeza u mozgu, sporadičnog oboljenja Levijevih tijela u poodmakloj životnoj dobi, Alzheimerove
 bolesti varijanti Levijevih tijela, Downovog sindroma, esencijalnog tremora sa Levijevim tijelima, familijarnog
 parkinsonizma sa ili bez demencije, demencije povezana sa tau genom ili progranulin genom sa ili bez
 60 parkinsonizma, Creutzfeldt-Jakobove bolesti; goveđe spongiformne encefalopatije, sekundarne Parkinsonove
 bolesti, parkinsonizma nastalog usijed izlaganja neurotoksinima, parkinsonizma induciranog lijekovima sa

taloženjem α -sinukleina; sporadične ili nasljedne spinocerebelarne ataksije, amiotrofične lateralne skleroze (ALS), i idiopatskog poremećaja procesa spavanja brzog kretanja oka.