



(19) REPUBLIKA HRVATSKA  
DRŽAVNI ZAVOD ZA  
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO



(10) Identifikator  
dokumenta:

HR P20110386 T1

HR P20110386 T1

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

(51) MKP:

**C07K 14/46** (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 31.08.2011.

(21) Broj predmeta: P20110386T

(22) Datum podnošenja zahtjeva u HR: 24.05.2011.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/EP2006003203  
Datum podnošenja međunarodne prijave: 07.04.2006.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 06724141.4  
Datum podnošenja europske prijave patenta: 07.04.2006.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2007115578  
Datum međunarodne objave: 18.10.2007.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 2010563 A1  
Datum objave europske prijave patenta: 07.01.2009.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 2010563 B1  
Datum objave europskog patenta: 02.03.2011.

(73) Nositelj patenta:

**Georg-August-Universität Göttingen Stiftung Öffentlichen Rechts,  
Robert-Koch-Strasse 40, 37075 Göttingen, DE**

(72) Izumitelj:

**Franco Antonio Laccone, Carl Lutz Strasse 18, 2000 Stockerau, AT**

(74) Zastupnik:

**CPZ - CENTAR ZA PATENTE d.d., 10000 Zagreb, HR**

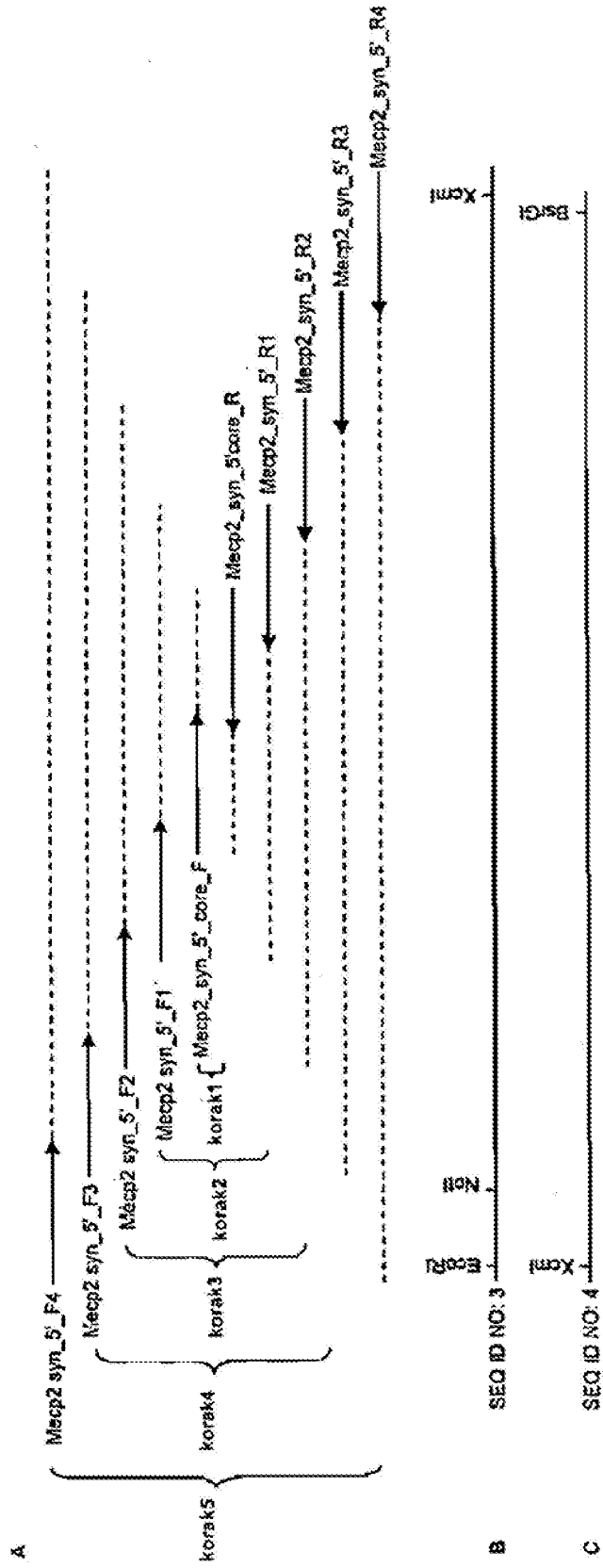
(54) Naziv izuma:

**SINTETIČKA SEKVENCA MECP2 ZA ZAMJENSKU PROTEINSKU TERAPIJU**

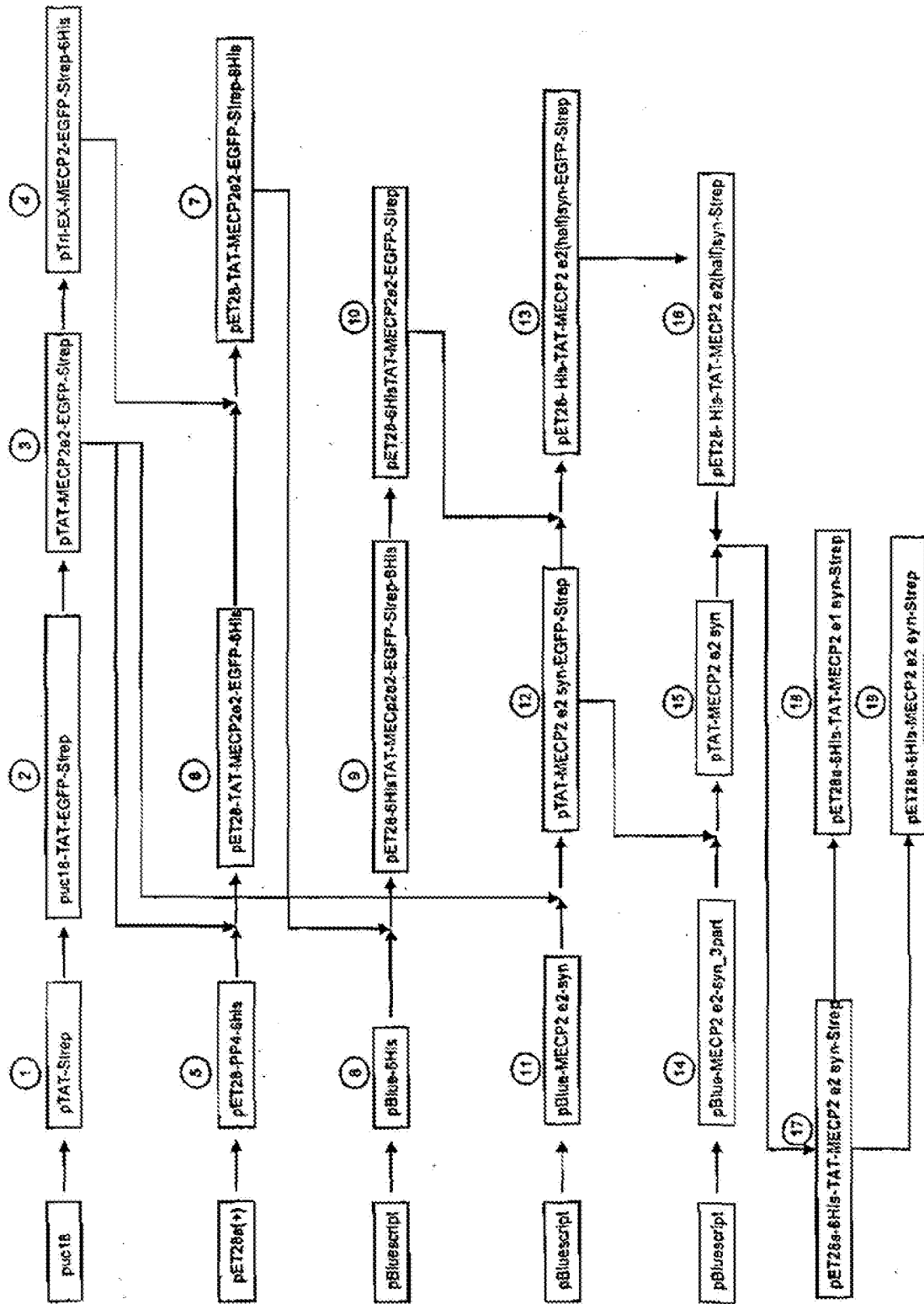
HR P20110386 T1

## PATENTNI ZAHTJEVI

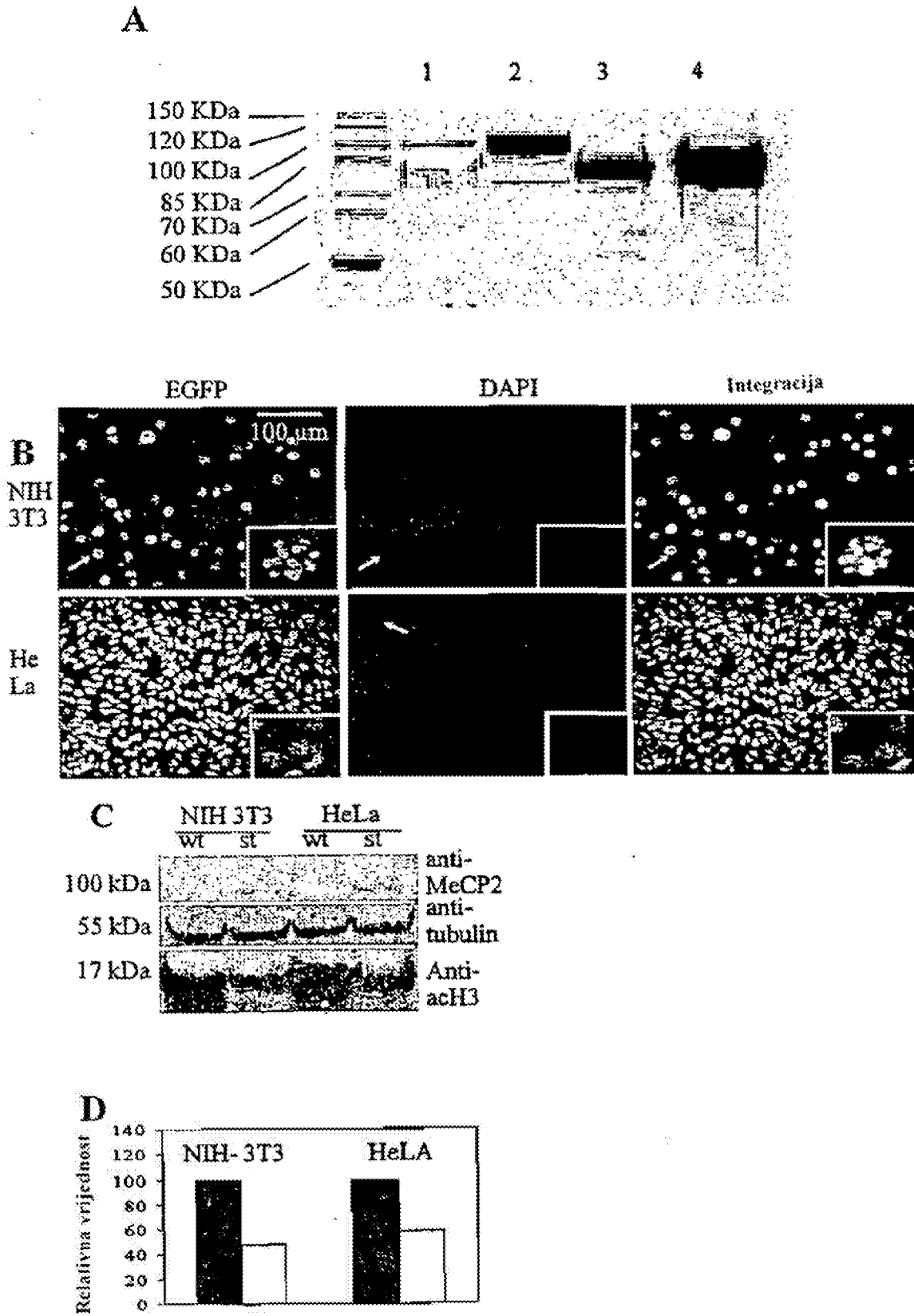
- 5
1. Polipeptid, koji sadrži (i) protein MeCP2 ili biološki aktivni fragment ili derivat spomenutog proteina ili fragmenta, i (ii) domenu transdukcije proteina, pri čemu je protein MeCP2 sjedinjen s domenom transdukcije proteina, **naznačen time**, da se upotrebljava u postupku liječenja neurodegenerativne ili neurorazvijajuće bolesti; pri čemu spomenuti fragment sadrži najmanje 150 amino kiselina proteina MeCP2; i pri čemu spomenuti derivat spomenutog proteina ili fragmenta ima najmanje 60% identičnosti sa spomenutim proteinom MeCP2 ili njegovim fragmentom; i pri čemu spomenuti fragment ili spomenuti derivat ima najmanje 60% spomenute biološke aktivnosti, kako je određeno transkripcijskim ispitivanjem *in vitro* opisanim prema Nan, X et al., Cell 88: 471-481 (1997).
  - 10 2. Polipeptid, koji sadrži (i) protein MeCP2 ili biološki aktivni fragment ili derivat spomenutog proteina ili fragmenta, i (ii) domenu transdukcije proteina, pri čemu je protein MeCP2 sjedinjen s domenom transdukcije proteina, **naznačen time**, da se upotrebljava u postupku liječenja Rett-sindroma; pri čemu spomenuti fragment sadrži najmanje 150 amino kiselina proteina MeCP2; i pri čemu spomenuti derivat spomenutog proteina ili fragmenta ima najmanje 60% identičnosti sa spomenutim proteinom MeCP2 ili njegovim fragmentom; i pri čemu spomenuti fragment ili spomenuti derivat ima najmanje 60% spomenute biološke aktivnosti, kako je određeno transkripcijskim ispitivanjem *in vitro* opisanim prema Nan, X et al., Cell 88: 471-481 (1997).
  - 15 3. Polipeptid prema zahtjevu 1, **naznačen time**, da se neurorazvijajuća bolest očekuje uslijed redukcije ekspresije MeCP2 ili uslijed oslabljene funkcije MeCP2.
  4. Polipeptid prema bilo kojem zahtjevu 1 do 3, **naznačen time**, da je domena transdukcije proteina proizašla iz transkripcijskog pokretača proteina humanog virusa-1-imunodeficijencije (TAT protein).
  5. Polipeptid prema bilo kojem zahtjevu 1 do 4, **naznačen time**, da protein MeCP2 ili njegov biološki aktivni fragment ili njegov derivat je humanog porijekla.
  - 25 6. Polipeptid prema bilo kojem zahtjevu 1 do 5, **naznačen time**, da protein MeCP2 ili njegov biološki aktivni fragment ili njegov derivat je humani MeCP2g izoform-e1 ili humani MeCP2g izoform-e2 ili njegov biološki aktivni fragment ili derivat spomenutih izoforma ili spomenutih fragmenata.
  7. Polipeptid prema bilo kojem zahtjevu 1 do 6, **naznačen time**, da spomenuta domena transdukcije proteina ima najmanje 60%, posebno 70% identičnosti sekvence sa sekvencom amino kiseline od domene transdukcije TAT proteina (SEQ ID NO.54).
  - 30 8. Polipeptid prema bilo kojem zahtjevu 1 do 7, **naznačen time**, da liječenje obuhvaća davanje polipeptida sisavcima.
  9. Polipeptid prema bilo kojem zahtjevu 1 do 8, **naznačen time**, da je spomenuti polipeptid obuhvaćen u farmaceutskom sastavu.
  - 35 10. Polipeptid prema bilo kojem zahtjevu 1 do 9, **naznačen time**, da se spomenuti farmaceutski sastav daje u dozi od 0,1-200 µg polipeptida po gramu mase tijela sisavca.
  11. Polipeptid prema bilo kojem zahtjevu 1 do 10, **naznačen time**, da se spomenuti farmaceutski sastav daje najmanje jednom dnevno ili svaki drugi dan.
  12. Uporaba polipeptida prema bilo kojem zahtjevu 1 do 11, **naznačena time**, da se koristi za proizvodnju farmaceutskog sastava za prevenciju i/ili liječenje neurodegenerativne ili neurorazvijajuće bolesti.
  - 40 13. Uporaba prema zahtjevu 12, **naznačena time**, da je neurorazvijajuća bolest očekivana uslijed redukcije ekspresije MeCP2 ili uslijed oslabljene funkcije MeCP2, posebno kada je neurorazvijajuća bolest Rett-sindrom.



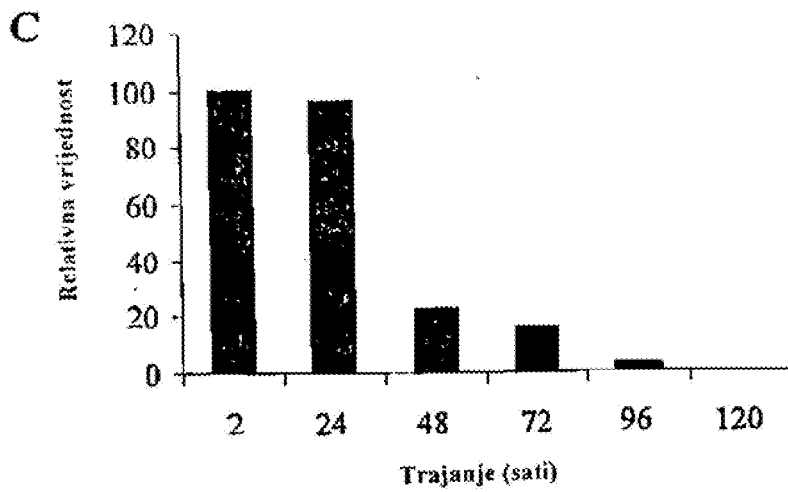
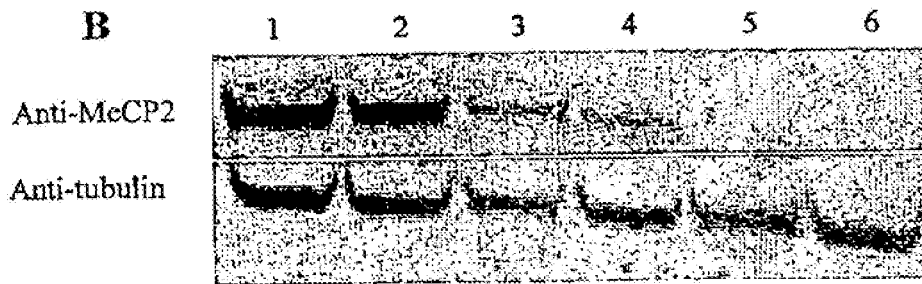
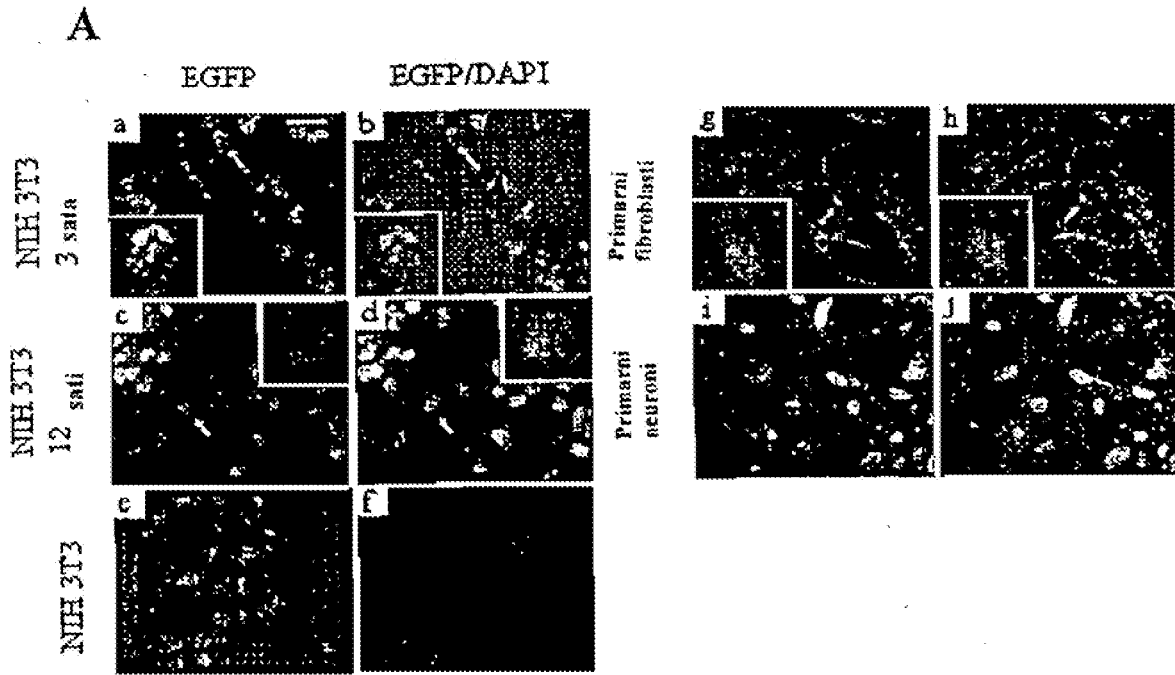
SLIKA 1



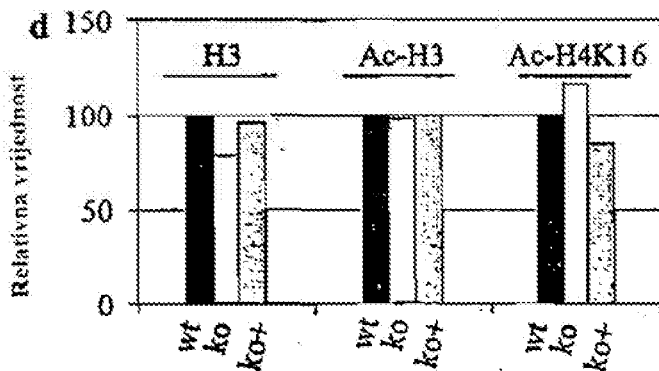
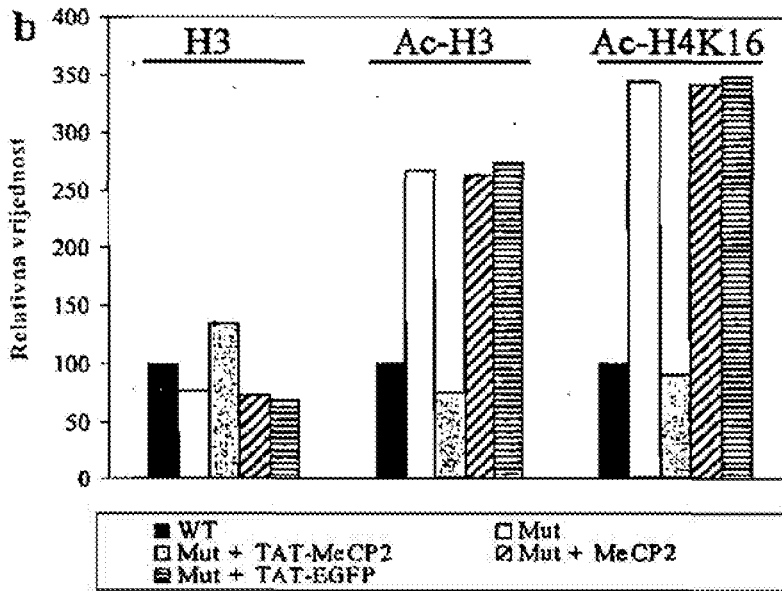
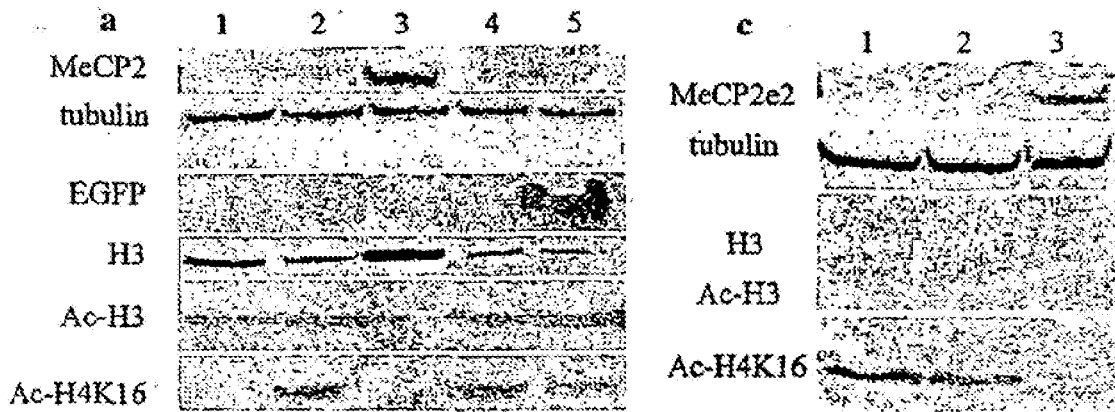
SLIKA 2



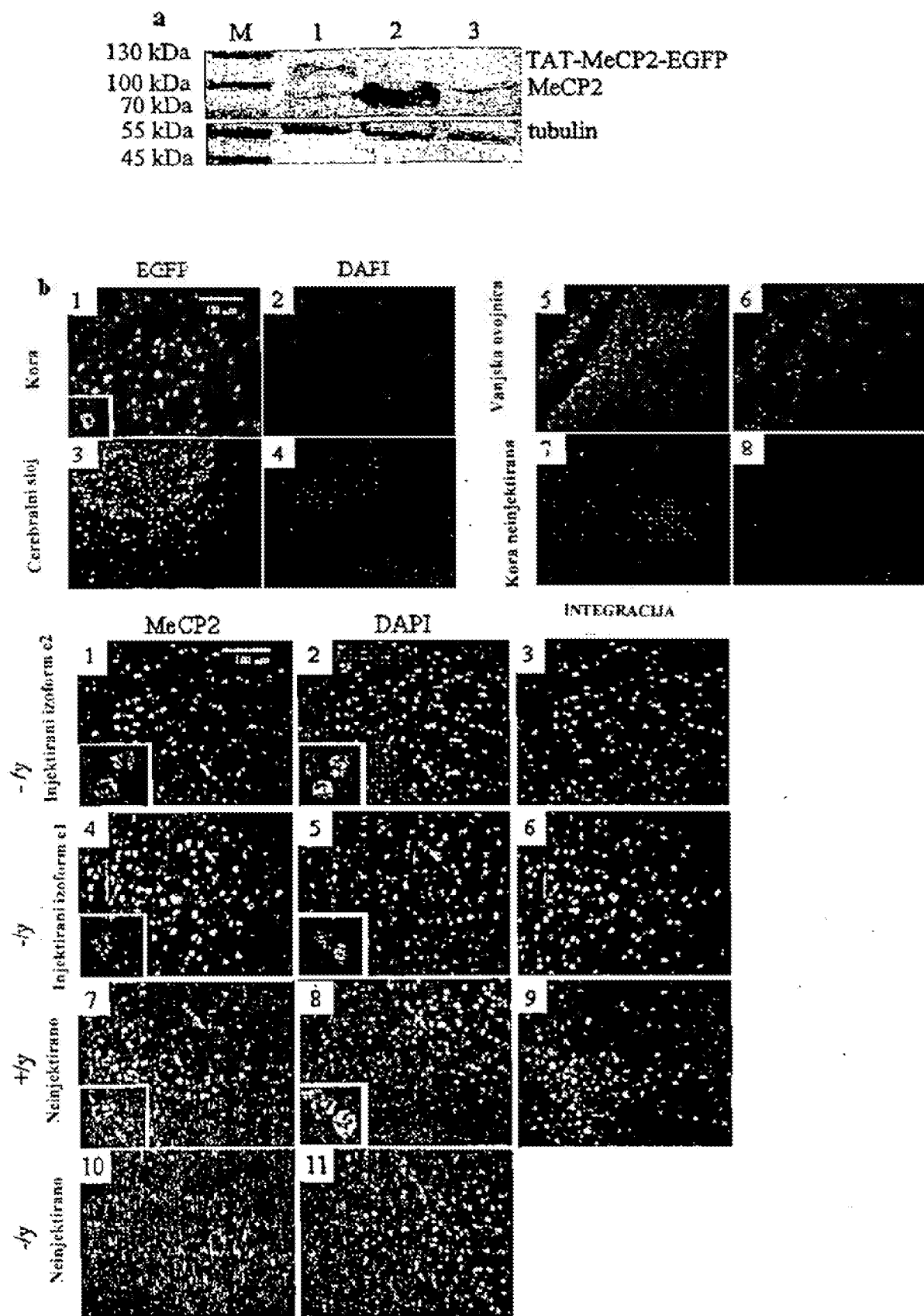
SLIKA 3



SLIKA 4

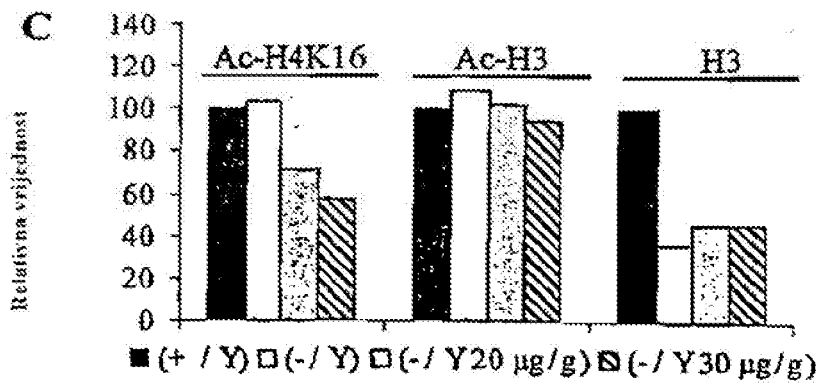
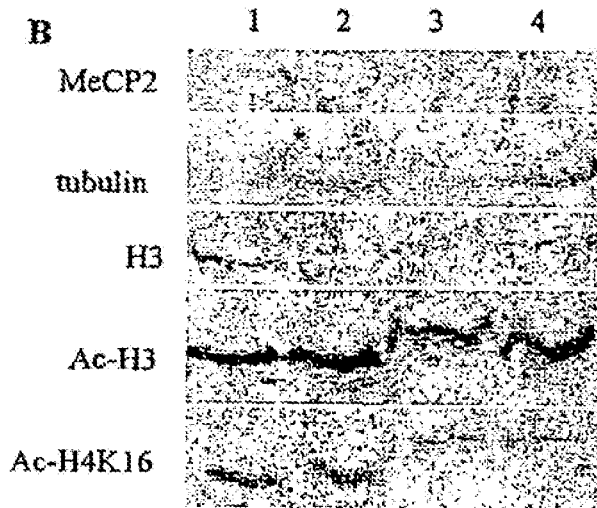
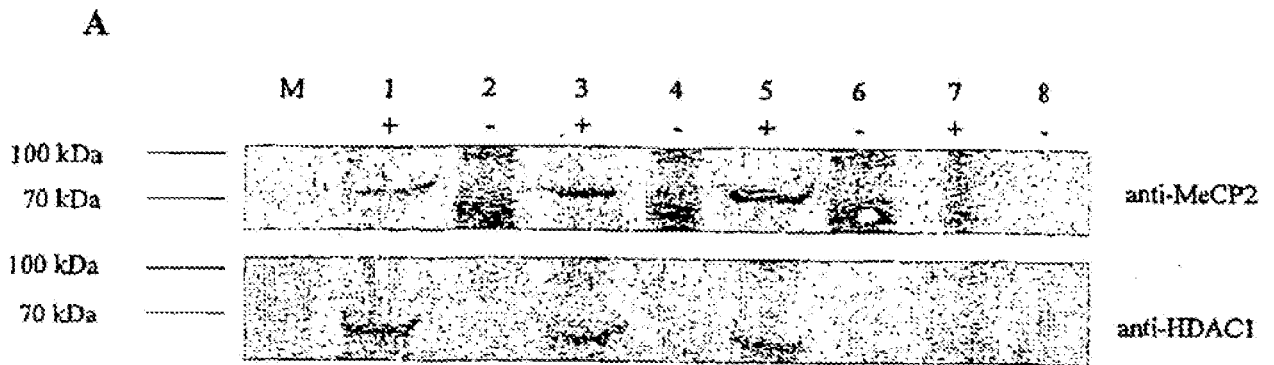


SLIKA 5

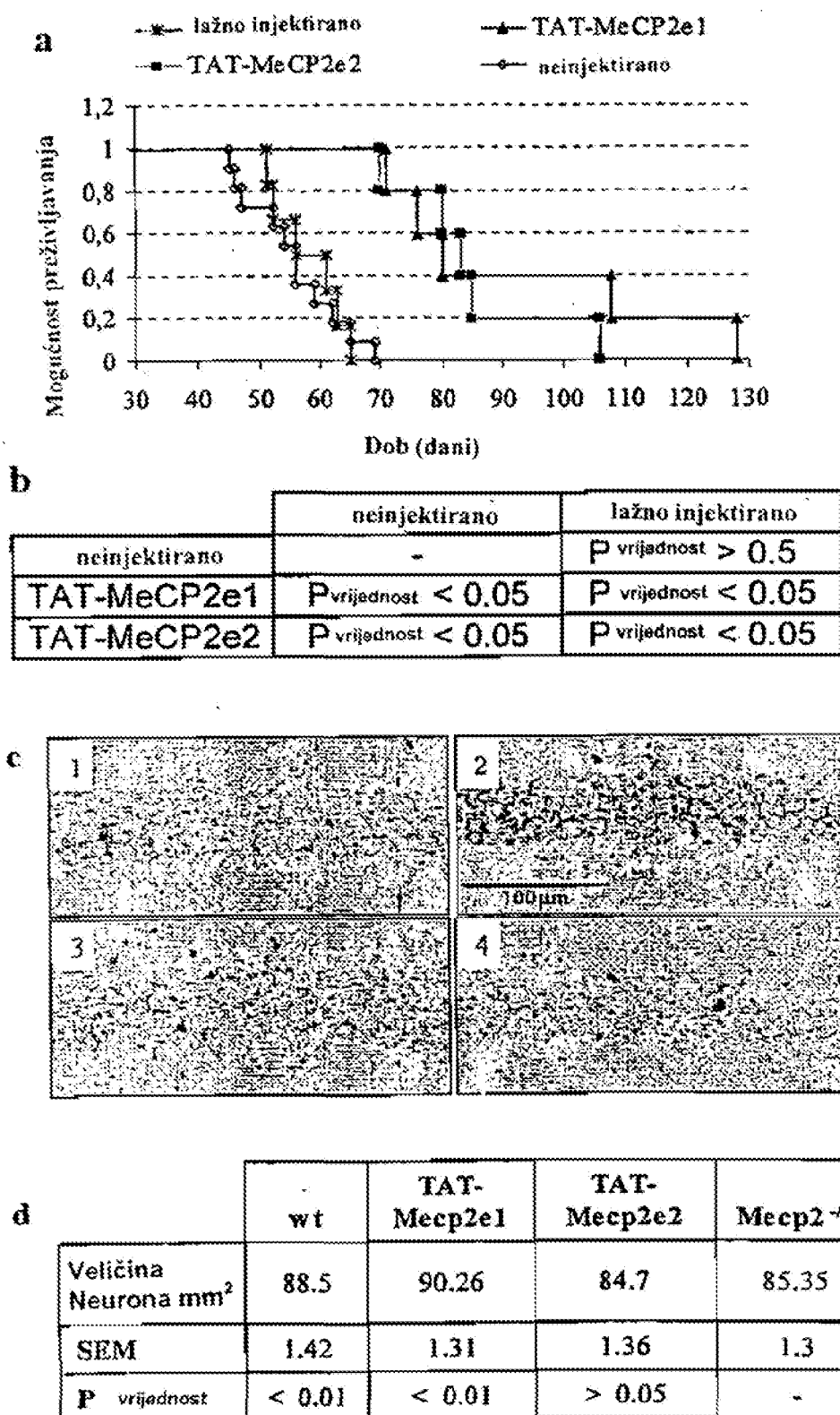


SLIKA 6





SLIKA 7



SLIKA 8