



No. 15-289601-00004-0000

Fecha: 2016-03-23 09:51:19 Dep. 2020 DIR.NUEVASCR
 Tra. 11 PATENTEIYII Evb. 378 FASENACIONALI
 Act. 444 RESPUESTAREQUE Folios: 18

Doctor

José Luis Salazar López

Director de Nuevas Creaciones

SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO -SIC-

E.

S.

D.

TOBOS ABOGADOS S.A.S.

Calle 151 No. 18A-34

Oficina 409 Bogotá D.C.

C.P. 110131166 - Colombia

NIT 900.367.556-3

Tel +57 1 812 3335

Cel +57 320 334 0887

Fax +57 1 812 3335

<http://www.tobos.com.co>tobos@tobos.com.co

Referencia: Solicitud de patente de invención No. 15-289601

Solicitante: Bio Blast Pharma LTD.

Título del Invento: Tratamiento de enfermedades miopáticas y
 neurodegenerativas por agregación de proteína mediante administración
 parenteral de trehalosa

RESPUESTA AL EXAMEN DE FORMA NOTIFICADO POR FIJACION EN LISTA NO. 04**DEL 26 DE ENERO DE 2016, OFICIO No. 194**

ANDREA TOBOS MATEUS, mayor de edad y domiciliada en Bogotá D.C., identificada según aparece debajo de mi firma, como apoderada de la sociedad Bio Blast Pharma LTD., doy respuesta al examen de forma notificado por medio de la fijación en lista No. 04, dentro del término legal.

1. Pago de tasas patente de invención

1.1. En respuesta a la petición del Examinador, se presenta comprobante de pago por las reivindicaciones adicionales, de conformidad con lo dispuesto en la resolución de tasas. En concreto, la presente invención ahora contiene 38 reivindicaciones según modificaciones abajo detalladas.

1.2. Presento pago por 28 reivindicaciones presentadas de acuerdo al capítulo reivindicatorio adjunto.

2. Poder

2.1. En respuesta a la petición del Examinador, se presenta nuevamente el poder de abogado otorgado por la sociedad solicitante a mi favor.

3. Excepción a la patentabilidad (artículo 20, literal d Decisión 486)

3.1. El Examinador plantea que el objeto de las reivindicaciones 1 a 10 no es patentable de acuerdo con el Art 20, literal (d), D 486, dado que se relaciona con un método de tratamiento.

3.2. En respuesta a la observación del Examinador, presento un Capítulo Reivindicatorio modificado en donde se han retirado las reivindicaciones 1 a 21, quedando ahora un total de 38 (treinta y ocho) reivindicaciones.

Para tal efecto anexo:

- Capítulo Reivindicatorio modificado;
- Pago de tasa correspondiente a 28 (veintiocho) reivindicaciones adicionales a las primeras 10 reivindicaciones por un total de \$ 1.120.000.

Agradezco su amable colaboración.

Atentamente,



ANDREA TOBOS MATEUS

C.C. 52.223.325 de Bogotá

T.P. 148648

2357961A



Espacio reservado para el adhesivo de radicación

**FORMULARIO PARA OTORGAR PODER A ABOGADO
EN LOS TRÁMITES DE PROPIEDAD INDUSTRIAL**

1. Datos del otorgante

☐ Persona Natural ☒ Persona Jurídica

BIO BLAST PHARMA LTD.

Nombre o denominación / Razón Social completa (En caso de que haya más de un solicitante, relaciónese en hoja adjunta)

Tipo de empresa ☐ Micro ☐ Pequeña ☐ Mediana ☒ OtraDocumento de identificación: ☐ C.C. ☐ C.E. ☐ NIT ☒ Otro Número

Nacionalidad/País de constitución	Dirección del Titular	
Israel	37 Menachem Begin Street Rubinstein Tower, 15th floor 6522042 Tel Aviv, Israel	
Dirección Electrónica	No. Fax	Número telefónico
tobos@tobos.com.co	812 3335	812 3335

2. Datos del apoderado

TOBOS MATEUS, ANDREA 52.223.325 148648
Apellidos y Nombre Documento de identificación T.P. (sólo abogados profesionales)

Nacionalidad/País de constitución	Dirección del Titular	
COLOMBIANA	Carrera 7C No. 138-19 Oficina 901 Bogotá, D.C. Colombia	
Dirección Electrónica	Número de Fax	Número telefónico
andrea.tobos@tobos.com.co	8 123335	8 123335

☒ Autorizo expresamente a la Superintendencia de Industria y Comercio para que todas las comunicaciones sean enviadas a través de la dirección de correo electrónico: andrea.tobos@tobos.com.co

Mediante el presente documento, la persona indicada en el punto 1 de este documento nombra a la persona que se identifica en el punto 2 como apoderado para las actuaciones que se relacionan a continuación:

3. Actuaciones en cuestión

Este poder concierne:

☒ Todas las solicitudes de signos distintivos y de nuevas creaciones; y registros o patentes actuales y futuros del otorgante; inscripción de fusiones, conversiones o divisiones, cambios de nombre, traspasos, cambios de domicilio y de dirección; inscripción de contratos de prenda, inscripción de licencias de uso,

PI00-F06 (2012-04-11)

embargos, renovaciones y otros actos que afecten o limiten los mencionados derechos de propiedad industrial; presentación y tramitación de oposiciones y acciones de cancelación relacionadas con trámites de propiedad industrial, a cuyo efecto la faculta para presentar solicitudes, peticiones y demandas, interponer recursos, reclamos, pagar Impuestos y tasas, recibir, transigir y desistir, incluyendo facultades para entrar en acuerdos amigables, conciliaciones y transacciones, y en general, a dar ante las autoridades competentes todos los pasos necesarios para la debida protección de nuestra (mi) propiedad industrial; asimismo, se concede a la mencionada mandataria poder suficiente para recibir notificaciones a nombre de la compañía, sustituir el presente poder y revocar dichas sustituciones.

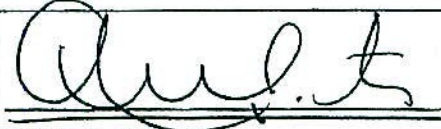
☒ Confiero expresamente al apoderado todas las facultades legales para que represente mi(s) interés(es) en la(s) actuación(es) señalada(s) en el punto 3 de este documento, incluyendo:

☒ Desistir de la(s) solicitud(es) y de las demás actuaciones

☒ Renunciar a los derechos del registro de signos distintivos o de nuevas creaciones

☐ El apoderado no está facultado para actuar como representante en los siguientes asuntos:

Nota: Si el espacio no es suficiente, por favor relacione las actuaciones siguiendo las Instrucciones antes dadas en la hoja anexa.

5. Firma ☒ <u>D. Megiddo</u> FIRMA DEL PODERDANTE ☒ <u>Dalia Megiddo</u> NOMBRE DEL PODERDANTE ☒ <u>Israel Passport Number 050694348</u> DOCUMENTO DE IDENTIFICACIÓN ☒ <u>2015</u> FECHA DE FIRMA	 FIRMA DEL APODERADO ANDREA TOBOS MATEUS T.P. 148648 C.C. 52.223.325
--	---

Instrucciones:

Firmar en el punto 5 sobre la línea de "firma del poderdante" y en la versión en Inglés en el punto 5 sobre la línea de "signature of the grantor". Incluir el nombre de la persona que firma.

No requiere ningún tipo de legalización o presentación personal.

REIVINDICACIONES

1. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma, para uso en un método para tratar o aliviar una enfermedad asociada a la agregación anormal de proteínas y/o formación de cuerpos de inclusión en miocitos, neuronas y otras células o compartimientos extracelulares, o por lo menos un síntoma asociado a los mismos, en un sujeto humano en necesidad del mismo que dicho método comprende la administración parenteral a dicho sujeto una cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma.
2. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para su uso tal como se define en la reivindicación 1, en donde dicha enfermedad es cualquiera del trastorno de agregación de polialanina, trastornos de agregación de poliglutamina y una tautopatía.
3. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 o reivindicación 2, en donde dicha enfermedad es cualquiera de la distrofia muscular oculofaríngea (OPMD), ataxia espínocerebelosa (SCA), la ataxia de Friedreich, la atrofia muscular espinal y bulbar

(SBMA), enfermedad de Huntington, enfermedad de Parkinson, la enfermedad de Alzheimer y esclerosis lateral amiotrófica (ALS, por sus siglas en inglés), la dentato-rubro-palido-luisiana (DRPLA), Enfermedad de pick, la degeneración Corticobasal (CBD), parálisis supranuclear progresiva (PSP) y Demencia Frontotemporal y parkinsonismo vinculado al cromosoma 17 (FTDP-17).

5

10

15

20

4. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3, en donde dicha formulación farmacéutica es una solución inyectable para administración parenteral.
5. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 4, en donde dicha formulación farmacéutica comprende trehalosa como único ingrediente activo, y opcionalmente comprende además al menos un aditivo, portador, excipiente o diluyente farmacéuticamente aceptable.
6. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 5, en donde la concentración de trehalosa en dicha formulación es entre aproximadamente 0.1% (p/v) a aproximadamente 50% (p/v).

7. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 6, en donde la concentración de trehalosa en dicha formulación es aproximadamente 10 % (p/v).
8. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 7, en donde la formulación farmacéutica que comprende trehalosa tiene una osmilalidad de alrededor de 280 - 330 mOsm/Kg.
9. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 8, en donde dicha administración es cualquiera de la administración intravenosa, intramuscular e intraperitoneal.
10. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 9, en donde dicha formulación farmacéutica comprende menos de 0.74 de unidades de endotoxina por ml de solución.
11. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 10, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa es de alrededor de

1 gramo a alrededor de 100 gramos para cada única inyección y no más de 1 gramo/kg de peso corporal de dicho sujeto por día.

12. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 11, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o formulación farmacéutica que comprende la misma es administrada crónicamente.

13. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 12, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o formulación farmacéutica que comprende la misma es administrada en una frecuencia de entre una vez diariamente a una vez por mes.

14. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso como se define en la reivindicación 13, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o trehalosa comprendida en dicha formulación farmacéutica es administrada una vez diariamente desde alrededor de 10 mg/kg/día a alrededor de 1 gramo/kg/día de trehalosa.

15. Trehalosa o una formulación farmacéutica que

comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 12, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o trehalosa comprendida en dicha formulación farmacéutica se administra en una única administración de inyección una vez por semana.

5

16. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso como se define en la reivindicación 13 o la reivindicación 15, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o trehalosa comprendida en dicha formulación farmacéutica se administra por vía intravenosa en una dosis única de aproximadamente 5 a aproximadamente 35 gramos de trehalosa, una vez diario, una vez cada dos días, dos veces a la semana, una vez por semana, una vez cada dos semanas , una vez cada tres semanas o una vez al mes.

10

15

17. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso como se define en la reivindicación 13 o la reivindicación 15, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o trehalosa comprendida en dicha formulación farmacéutica se administra en una dosis única de 5, 8, 15, 30, 40 ó 50 gramos de trehalosa.

20

18. Trehalosa o una formulación farmacéutica que

comprende la misma para uso como se define en la reivindicación 1 o la reivindicación 17, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para una
5 solución inyectable y en donde la tasa de administración es de manera que el nivel máximo de endotoxina es menor que 5 unidades de endotoxina por kilogramo de peso corporal por hora.

19. Trehalosa o una formulación farmacéutica que
10 comprende la misma para uso como se define en la reivindicación 1 o la reivindicación 18, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma es adaptada para administración intravenosa y en donde dicha
15 administración está completa dentro desde alrededor de 75 a alrededor de 120 minutos, específicamente dentro de menos de 90 minutos.

20. Trehalosa o una formulación farmacéutica que
comprende la misma para uso como se define en cualquiera
20 de las reivindicaciones 12 a 19, en donde dicha administración comprende un régimen de dosis de dosis iguales, o dosis que aumenta gradualmente, o dosis que disminuyen gradualmente de trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma.

21. Trehalosa o una formulación farmacéutica que comprende la misma para uso tal como se define en cualquiera de las reivindicaciones 1 a 11, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa o formulación farmacéutica que comprende la misma es administrada periódicamente.
22. Una formulación farmacéutica acuosa que comprende una cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa como ingrediente activo único, en donde la formulación tiene un pH de alrededor de 4.5 a 7.0 y que contiene menos de 0.74 unidades de endotoxina por ml y en donde dicha formulación farmacéutica está adaptada para la administración parenteral.
23. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con la reivindicación 22, adaptada para administración intravenosa, intramuscular o intraperitoneal.
24. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con la reivindicación 22 o la reivindicación 23, que comprende opcionalmente además al menos un aditivo, portador, excipiente o diluyentes farmacéuticamente aceptable.
25. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 24, en donde la concentración de la trehalosa está entre

aproximadamente 0.1% (p/v) a aproximadamente 50% (p/v).

26. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 25, en donde la concentración de la trehalosa es aproximadamente 10 % (p/v).

27. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 26, en donde la formulación tiene una osmolalidad de alrededor de 280-330 mOsm/kg.

28. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 27, en donde la formulación es administrada a una frecuencia de entre una vez diario a una vez al mes.

29. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 26, en donde dicha cantidad terapéuticamente efectiva de trehalosa es de alrededor de 1 gramo a alrededor de 100 gramos para cada inyección diaria y no más de 1 gramo/kg de peso corporal de dicho sujeto por día.

30. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 29, en donde la formulación farmacéutica es administrada una vez diariamente desde alrededor de 10 mg/kg/día a alrededor de 1 gramo/kg/día de trehalosa.

31. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 30, en donde la formulación se administra a una frecuencia de entre una vez al día a una vez al mes en una dosis de alrededor de 5 a alrededor de 35 gramos de trehalosa comprendida en la misma.
32. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con la reivindicación 31, para administración una vez al día, una vez cada dos días, dos veces a la semana, una vez por semana, una vez cada dos semanas, una vez cada tres semanas o una vez al mes.
33. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con la reivindicación 32, en donde la dosis es de 5, 8, 15, 30, 40 ó 50 gramos.
34. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 33, en donde la tasa de administración es de manera que el nivel máximo de endotoxina es menor que 5 unidades de endotoxina por kilogramo de peso corporal por hora.
35. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 34, en donde la formulación es adaptada para la administración intravenosa y en donde dicha administración se termina dentro de alrededor 75 a alrededor de 120 minutos,

específicamente dentro de menos de 90 minutos.

36. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 22 a 35, para el tratamiento de una enfermedad asociada con la agregación anormal de proteína o formación de cuerpos de inclusión en miocitos, neuronas y otras células o compartimentos extracelulares o para aliviar un signo o síntoma asociado con la misma en un sujeto humano en necesidad de la misma.

37. La formulación farmacéutica acuosa de conformidad con la reivindicación 36, en donde dicha enfermedad es cualquiera de la distrofia muscular oculofaríngea (OPMD), ataxia espinocerebelosa (SCA), la ataxia de Friedreich, la atrofia muscular espinal y bulbar (SBMA), enfermedad de Huntington, enfermedad de Parkinson, la enfermedad de Alzheimer y esclerosis lateral amiotrófica (ALS, por sus siglas en inglés), la dentato-rubro-palido-luisiana (DRPLA), Enfermedad de pick, la degeneración Corticobasal (CBD), parálisis supranuclear progresiva (PSP) y Demencia Frontotemporal y parkinsonismo vinculado al cromosoma 17 (FTDP-17).

38. Un equipo que comprende:

a. trealosa o un derivado activo de la misma farmacéuticamente aceptable;

b. al menos un aditivo, portador, excipiente y diluyente

farmacéuticamente aceptable;

c. los medios para la preparación de una solución acuosa
inyectable de trehalosa mezclando dicha trehalosa
con al menos uno de dichos aditivo, portador,
5 excipiente y diluyente;

d. los medios para administrar por vía parenteral dicha
solución inyectable a un paciente en necesidad;

e. Instrucciones de uso.

SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO

NIT : 800.176.089-2

- / -



RECIBO DE CAJA

No. 16 - 0028106

Bogotá D.C., Marzo 23 de 2016 - 09:43:34

RECIBIDO DE : TOBOS ABOGADOS SAS

NI 900.367.556

*** Soporte del Pago ***

TIPO PAGO	BANCO	CUENTA	No. PAGO	FECHA PAGO	VR. PAGO
CONSIGNACION	BANCO DE BOGOTA	062754387	758953871	23/03/2016	1.120.000.00

*** Conceptos Pagados ***

CANT. RENTISTICO	CONCEPTO	Vr.UNDITARIO	Vr.CONCEPTO
28 50005-01-01 SOLICITUDES	607 REIVINDICACION PATENTE UNITARIA ADICIONAL A LAS 10 INIC	40.000.00	1.120.000.00
			\$1.120.000.00

SON: **UN MILLON CIENTO VEINTE MIL PESOS MONEDA CORRIENTE**

Responsable: _____

Recibo de Caja Aplicado al Expediente No. _____

SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO



No. 15-289601- -00004-0000

Fecha: 2016-03-23 09:51:19 Dep. 2020 DIR.NUEVASCR
 Tra. 11 PATENTEIYII Eve: 378 FASENACIONAL
 Act. 444 RESPUESTAREQUE Folios: 16

Sede Centro: Carrera 13 No. 27 - 00 Pisos 3,4,5 y 10 Bogotá, D.C.- Colombia

Web: www.sic.gov.co e-mail: info@sic.gov.co Conmutador: (571) 5870000 Fax: (571) 5870284 Línea: 018000-910165 Call Center: (571) 6513240

Marzo 23 de 2016 - 09:43:35