

REIVINDICACIONES

LO QUE SE REIVINDICA ES LO SIGUIENTE:

5

1. Una composición que comprende una glicoproteína recombinante, donde la glicoproteína recombinante es β -glucuronidasa humana y tiene un contenido de sialilación de al menos 0,7 mol/mol de la glicoproteína recombinante.

10

2. La composición de la reivindicación 1, donde la glicoproteína recombinante tiene un nivel elevado de restos de manosa-6-fosfato (M6P).

15

3. La composición de la reivindicación 1, donde la glicoproteína recombinante tiene un contenido de sialilación de al menos 1 mol/mol y un nivel elevado de restos de M6P de al menos 10 % en moles del glucano total de la glicoproteína recombinante.

20

4. La composición de la reivindicación 1, donde la glicoproteína recombinante tiene un nivel elevado de restos de M6P y una concentración media-máxima dependiente de M6P de no más de 3 nM de la glicoproteína recombinante en los

fibroblastos humanos.

5. Una preparación de una población de glicoproteínas recombinantes, donde la proteína recombinante es β -glucuronidasa humana y donde al menos 10 % de la población de la glicoproteína recombinante se encuentra sialilada.

6. La preparación de la reivindicación 5, donde la proteína recombinante tiene un contenido de sialilación de al menos 0,7 mol/mol de la proteína recombinante.

7. La preparación de la reivindicación 5, donde la proteína recombinante tiene un nivel elevado de restos de M6P.

8. La preparación de la reivindicación 5, donde la glicoproteína recombinante tiene un contenido de sialilación de al menos 1 mol/mol y un nivel elevado de restos de M6P de al menos 10 % en moles del glucano total de la glicoproteína recombinante.

20

9. La preparación de la reivindicación 5, donde la glicoproteína recombinante tiene un nivel elevado de restos de M6P y una concentración de absorción media-máxima dependiente de no más de 3 nM de la glicoproteína

recombinante en los fibroblastos humanos.

10. Un método para elaborar la composición de la reivindicación 1, que comprende la expresión de la glicoproteína recombinante en un cultivo celular con un medio sin proteínas o suero.

11. Un método para elaborar la preparación de la reivindicación 5, que comprende la expresión de la glicoproteína recombinante en un cultivo celular con un medio sin proteínas o suero.

12. Un método para tratar múltiples enfermedades de almacenamiento lisosómico que comprende la administración a un individuo que necesita tal tratamiento de una cantidad terapéuticamente eficaz de la composición de la reivindicación 1.

13. Un método para tratar una afección o trastorno en un sujeto, que comprende la administración al sujeto de una pauta posológica que comprende una glicoproteína recombinante que tiene un contenido de sialilación de al menos 0,7 mol/mol de la glicoproteína recombinante, donde la administración proporciona un efecto terapéutico estadísticamente

significativo para el tratamiento de la afección o trastorno.

14. El método de la reivindicación 13, donde el sujeto es un ser humano.

5

15. El método de la reivindicación 13, donde la afección o trastorno se relaciona con una deficiencia enzimática.

16. El método de la reivindicación 15, donde la afección o
10 trastorno que se relaciona con una deficiencia enzimática es una enfermedad de almacenamiento lisosómico.

17. El método de la reivindicación 16, donde la enfermedad de almacenamiento lisosómico es mucopolisacaridosis tipo 7.

15

18. El método de la reivindicación 13, donde la glicoproteína recombinante es β -glucuronidasa humana recombinante.

20 19. El método de la reivindicación 18, donde la β -glucuronidasa humana recombinante se administra a una dosis de al menos aproximadamente 0,5 mg/kg.

20. El método de la reivindicación 18, donde la β -

glucuronidasa humana recombinante se administra a una dosis de al menos aproximadamente 1 mg/kg a aproximadamente 8 mg/kg.

5 21. El método de la reivindicación 18, donde la β -glucuronidasa humana recombinante se administra a una dosis de al menos aproximadamente 2 mg/kg a aproximadamente 6 mg/kg.

10 22. El método de la reivindicación 18, donde la β -glucuronidasa humana recombinante se administra a una dosis de aproximadamente 4 mg/kg.

23. El método de cualquiera de las reivindicaciones 19-22,
15 donde la β -glucuronidasa humana recombinante se administra semanalmente.

24. El método de cualquiera de las reivindicaciones 19-22,
donde la β -glucuronidasa humana recombinante se administra
20 una vez cada dos semanas.

25. El método de cualquiera de las reivindicaciones 19-24,
donde la β -glucuronidasa humana recombinante se administra por vía intravenosa.

26. El método de cualquiera de las reivindicaciones 19-25, donde la β -glucuronidasa humana recombinante se administra por infusión continua.

5

27. El método de cualquiera de las reivindicaciones 19-26, donde la pauta posológica de la β -glucuronidasa humana recombinante se administra junto con antihistamínico o luego de este.

10

15

20