

P-2018/16130

SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO
DIRECCIÓN DE NUEVAS CREACIONES

E. S. D.

Ref.: Expediente No. NC2018/0011349

Discusión rechazo modificación Capítulo Reivindicatorio - Fecha: 23 de enero de 2019

1. Yo, CAROLINA DAZA MONTALVO, identificada como aparece al pie de mi firma, domiciliada en la Carrera 11 No. 86-53, piso 3, obrando como apoderada de la solicitante de la invención que se tramita en el expediente de la referencia, **AMICUS THERAPEUTICS INC**, en respuesta a la discusión generada el día de hoy, 23 de enero de 2019, presentó nuevamente el capítulo reivindicatorio modificado, presentado en respuesta al Oficio No. 13093, en español.

Informamos a ese Despacho que por un error involuntario se anexó el capítulo original en inglés, siendo correcto el adjunto a este escrito, debidamente traducido al español. Se presente el capítulo reivindicatorio en archivo word y pdf.

Adicionalmente, confirmo a ese Despacho que con la respuesta al Oficio No. 13093 se efectuó el pago de la tasa oficial por modificación voluntaria, así como la tasa oficial por 13 reivindicaciones adicionales.

2. Solicito respetuosamente a ese Despacho se tengan en cuenta los documentos aportados y se continúe con el trámite de la presente solicitud.

Señor Director,



CAROLINA DAZA MONTALVO

C.C. 66.783.790 de Palmira Valle

TP-141563 CSJ

notificaciones@clarkemodet.com.co

P-16130

Nuevo capítulo reivindicatorio

Enero 4, 2019

REIVINDICACIONES

1. Una formulación farmacéutica que comprende:
 - (a) una α -glucosidasa ácida humana recombinante (rhGAA), donde la rhGAA se expresa en células de ovario de hámster chino (CHO) y comprende al menos aproximadamente 3 moles de manosa-6-fosfato (M6P) por mol de rhGAA;
 - (b) al menos un amortiguador; y
 - (c) al menos un excipiente,donde la formulación tiene un pH de desde aproximadamente 5.0 hasta aproximadamente 7.0.
2. La formulación farmacéutica de la reivindicación 1, donde la rhGAA está presente en una concentración de aproximadamente 5 mg/ml a aproximadamente 50 mg/ml.
3. La formulación farmacéutica de la reivindicación 1 o la reivindicación 2, donde la rhGAA está presente en una concentración de aproximadamente 15 mg/ml.
4. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la formulación tiene un pH de aproximadamente 6.0.
5. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-4, donde el al menos un amortiguador comprende citrato, fosfato o una combinación de estos.
6. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-5, donde el al menos un amortiguador comprende una sal de potasio, sodio o amonio.
7. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-6, donde el al menos un excipiente comprende manitol.
8. La formulación farmacéutica de la reivindicación 7, donde el manitol está presente en una concentración de aproximadamente 10 mg/ml a aproximadamente 50 mg/ml.
9. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-8, donde el al menos un excipiente comprende polisorbato 80.

10. La formulación farmacéutica de la reivindicación 9, donde el polisorbato 80 está presente en una concentración de aproximadamente 0.2 mg/ml a aproximadamente 0.5 mg/ml.

11. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 7-10, donde el manitol está presente en una concentración de aproximadamente 20 mg/ml y el polisorbato 80 está presente en una concentración de aproximadamente 0.5 mg/ml.

12. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-11, que comprende además

un agente alcalinizante y/o

un agente acidificante

donde el agente alcalinizante y el agente acidificante están presentes en cantidades suficientes para mantener la formulación farmacéutica a un pH de desde aproximadamente 5.0 hasta aproximadamente 6.0.

13. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-12, donde la rhGAA comprende al menos 4 mol de ácido siálico por mol de rhGAA.

14. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-13, donde la rhGAA comprende siete sitios de N-glicosilación potenciales y donde:

(a) al menos un 50% de las rhGAA comprenden una unidad de N-glicanos que porta bis-M6P en el primer sitio de N-glicosilación potencial; o

(b) al menos un 30% de las rhGAA comprenden una unidad de N-glicanos que porta mono-M6P en el segundo sitio de N-glicosilación potencial; o

(c) al menos un 30% de las rhGAA comprenden una unidad de N-glicanos que porta bis-M6P en el cuarto sitio de N-glicosilación potencial; o

(d) al menos un 20% de las rhGAA comprenden una unidad de N-glicanos que porta mono-M6P en el cuarto sitio de N-glicosilación potencial.

15. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-14, donde la formulación farmacéutica está constituida esencialmente por:

(a) la rhGAA;

(b) citrato sódico;

(c) ácido cítrico monohidratado;

(d) manitol;

(e) polisorbato 80;

(f) agua

(g) opcionalmente, un agente acidificante; y

(h) opcionalmente, un agente alcalinizante,

donde la formulación tiene un pH de desde aproximadamente 5.0 hasta aproximadamente 6.0.

16. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-15, donde la formulación farmacéutica está constituida esencialmente por:

- (a) la rhGAA, presente en una concentración de aproximadamente 15 mg/ml;
- (b) amortiguador de citrato sódico, presente en una concentración de aproximadamente 25 mM;
- (c) manitol, presente en una concentración de aproximadamente 20 mg/ml;
- (d) polisorbato 80, presente en una concentración de aproximadamente 0.5 mg/ml;
- (e) agua;
- (f) opcionalmente, un agente acidificante; y
- (g) opcionalmente, un agente alcalinizante,

donde la formulación tiene un pH de desde aproximadamente 5.0 hasta aproximadamente 6.0.

17. Una composición farmacéutica que comprende la formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-16 después de su liofilización.

18. Una composición farmacéutica que comprende una mezcla liofilizada que comprende:

- (a) una rhGAA, donde la rhGAA se expresa en células CHO y comprende al menos aproximadamente 3 moles de M6P por mol de rhGAA;
- (b) al menos un amortiguador; y
- (c) al menos un excipiente.

19. Un método para preparar la formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-16, comprendiendo el método:

- (a) preparar una solución que comprende al menos un amortiguador, el al menos un excipiente y la rhGAA;
- (b) opcionalmente, ajustar el pH de la solución; y
- (c) opcionalmente, añadir agua adicional a la solución.

20. El método de la reivindicación 19, que comprende además filtrar la solución.

21. El método de la reivindicación 19 o la reivindicación 20, que comprende además almacenar la solución.

22. Un método para preparar la composición farmacéutica de la reivindicación 17, comprendiendo el método liofilizar la formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-16.

23. Un método para preparar la composición farmacéutica de la reivindicación 18, comprendiendo el método:

(a) combinar en una formulación líquida la rhGAA, el al menos un amortiguador y el al menos un excipiente; y

(b) liofilizar la formulación líquida.

P-16130

Nuevo capítulo reivindicatorio

Enero 4, 2019

REIVINDICACIONES

1. Una formulación farmacéutica que comprende:
 - (a) una α -glucosidasa ácida humana recombinante (rhGAA), donde la rhGAA se expresa en células de ovario de hámster chino (CHO) y comprende al menos aproximadamente 3 moles de manosa-6-fosfato (M6P) por mol de rhGAA;
 - (b) al menos un amortiguador; y
 - (c) al menos un excipiente,donde la formulación tiene un pH de desde aproximadamente 5.0 hasta aproximadamente 7.0.
2. La formulación farmacéutica de la reivindicación 1, donde la rhGAA está presente en una concentración de aproximadamente 5 mg/ml a aproximadamente 50 mg/ml.
3. La formulación farmacéutica de la reivindicación 1 o la reivindicación 2, donde la rhGAA está presente en una concentración de aproximadamente 15 mg/ml.
4. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la formulación tiene un pH de aproximadamente 6.0.
5. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-4, donde el al menos un amortiguador comprende citrato, fosfato o una combinación de estos.
6. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-5, donde el al menos un amortiguador comprende una sal de potasio, sodio o amonio.
7. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-6, donde el al menos un excipiente comprende manitol.
8. La formulación farmacéutica de la reivindicación 7, donde el manitol está presente en una concentración de aproximadamente 10 mg/ml a aproximadamente 50 mg/ml.
9. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-8, donde el al menos un excipiente comprende polisorbato 80.

10. La formulación farmacéutica de la reivindicación 9, donde el polisorbato 80 está presente en una concentración de aproximadamente 0.2 mg/ml a aproximadamente 0.5 mg/ml.

11. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 7-10, donde el manitol está presente en una concentración de aproximadamente 20 mg/ml y el polisorbato 80 está presente en una concentración de aproximadamente 0.5 mg/ml.

12. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-11, que comprende además

un agente alcalinizante y/o

un agente acidificante

donde el agente alcalinizante y el agente acidificante están presentes en cantidades suficientes para mantener la formulación farmacéutica a un pH de desde aproximadamente 5.0 hasta aproximadamente 6.0.

13. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-12, donde la rhGAA comprende al menos 4 mol de ácido siálico por mol de rhGAA.

14. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-13, donde la rhGAA comprende siete sitios de N-glicosilación potenciales y donde:

(a) al menos un 50% de las rhGAA comprenden una unidad de N-glicanos que porta bis-M6P en el primer sitio de N-glicosilación potencial; o

(b) al menos un 30% de las rhGAA comprenden una unidad de N-glicanos que porta mono-M6P en el segundo sitio de N-glicosilación potencial; o

(c) al menos un 30% de las rhGAA comprenden una unidad de N-glicanos que porta bis-M6P en el cuarto sitio de N-glicosilación potencial; o

(d) al menos un 20% de las rhGAA comprenden una unidad de N-glicanos que porta mono-M6P en el cuarto sitio de N-glicosilación potencial.

15. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-14, donde la formulación farmacéutica está constituida esencialmente por:

(a) la rhGAA;

(b) citrato sódico;

(c) ácido cítrico monohidratado;

(d) manitol;

(e) polisorbato 80;

(f) agua

(g) opcionalmente, un agente acidificante; y

(h) opcionalmente, un agente alcalinizante,

donde la formulación tiene un pH de desde aproximadamente 5.0 hasta aproximadamente 6.0.

16. La formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-15, donde la formulación farmacéutica está constituida esencialmente por:

- (a) la rhGAA, presente en una concentración de aproximadamente 15 mg/ml;
- (b) amortiguador de citrato sódico, presente en una concentración de aproximadamente 25 mM;
- (c) manitol, presente en una concentración de aproximadamente 20 mg/ml;
- (d) polisorbato 80, presente en una concentración de aproximadamente 0.5 mg/ml;
- (e) agua;
- (f) opcionalmente, un agente acidificante; y
- (g) opcionalmente, un agente alcalinizante,

donde la formulación tiene un pH de desde aproximadamente 5.0 hasta aproximadamente 6.0.

17. Una composición farmacéutica que comprende la formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-16 después de su liofilización.

18. Una composición farmacéutica que comprende una mezcla liofilizada que comprende:

- (a) una rhGAA, donde la rhGAA se expresa en células CHO y comprende al menos aproximadamente 3 moles de M6P por mol de rhGAA;
- (b) al menos un amortiguador; y
- (c) al menos un excipiente.

19. Un método para preparar la formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-16, comprendiendo el método:

- (a) preparar una solución que comprende al menos un amortiguador, el al menos un excipiente y la rhGAA;
- (b) opcionalmente, ajustar el pH de la solución; y
- (c) opcionalmente, añadir agua adicional a la solución.

20. El método de la reivindicación 19, que comprende además filtrar la solución.

21. El método de la reivindicación 19 o la reivindicación 20, que comprende además almacenar la solución.

22. Un método para preparar la composición farmacéutica de la reivindicación 17, comprendiendo el método liofilizar la formulación farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-16.

23. Un método para preparar la composición farmacéutica de la reivindicación 18, comprendiendo el método:

(a) combinar en una formulación líquida la rhGAA, el al menos un amortiguador y el al menos un excipiente; y

(b) liofilizar la formulación líquida.