

REPÚBLICA DE COLOMBIA
SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO

Resolución N° 2959

Ref. Expediente N° NC2018/0013255

Por la cual se otorga una Patente de Invención

EL SUPERINTENDENTE DE INDUSTRIA Y COMERCIO

en ejercicio de sus facultades legales, en especial de las conferidas en el numeral 26 del artículo 3° del Decreto 4886 de 2011, y

CONSIDERANDO:

PRIMERO: Que mediante escrito radicado en esta Superintendencia el 06 de diciembre de 2018, con el N° NC2018/0013255, por 4D MOLECULAR THERAPEUTICS INC., entró a fase nacional la solicitud de patente de invención titulada “CÁPSIDES VARIANTES DE VIRUS ADENOASOCIADOS Y MÉTODOS DE USO DE ESTAS”, que corresponde a la solicitud internacional PCT/US2017/032542 del 12 de mayo de 2017.

SEGUNDO: Que la solicitud fue publicada en la Gaceta de la Propiedad Industrial N° 847 el 14 de diciembre de 2018, sin que se hubieran presentado oposiciones por parte de terceros.

TERCERO: Que realizado el examen de fondo mediante Oficio N° 9902, notificado el 12 de septiembre de 2019, se requirió al solicitante en los términos del artículo 45 de la Decisión 486 de la Comisión de la Comunidad Andina para que presentara respuesta a las observaciones de carácter técnico, relacionadas con la patentabilidad o cumplimiento de los requisitos establecidos por esta Decisión para la concesión de la patente.

CUARTO: Que el solicitante mediante escrito radicado bajo el N° NC2018/0013255 el 08 de diciembre de 2019, respondió oportunamente el requerimiento formulado y presentó las reivindicaciones 1 a 24 que reemplazan las originalmente presentadas para que sean tenidas en cuenta al momento de realizar el examen definitivo de la solicitud. Se acepta este último capítulo reivindicatorio presentado, comoquiera que se ajusta a las prescripciones contenidas en el artículo 34 de la Decisión 486.

QUINTO: Que en virtud de lo dispuesto en el artículo 14 de la Decisión 486 expedida por la Comisión de la Comunidad Andina *“Los países miembros otorgarán patentes para las invenciones, sean de producto o de procedimiento, en todos los campos de la tecnología, siempre que sean nuevas, tengan nivel inventivo y sean susceptibles de aplicación industrial.”*

SEXTO: Que en el presente caso las reivindicaciones 1 a 24 incluidas en el radicado bajo el N° NC2018/0013255 del 08 de diciembre de 2019, cumplen los requisitos indicados en el considerando anterior, toda vez que refiere a una proteína de la cápside del virus adenoasociado (AAV) variante que difiere del estado de la técnica más cercano, US2015232953, en que comprende una inserción peptídica en el bucle GH de la proteína de la cápside con respecto a una proteína cápside del AAV parental correspondiente. Adicionalmente, dichas diferencias no se encuentran sugerida en el estado de la técnica y, como consecuencia de ello, se evidencia que el efecto técnico es el aumento en el perfil de transducción por virus AAV recombinantes en células retinianas en comparación a virus AAV que comprenden la proteína de capsida parental. Sumado a lo anterior, la materia reivindicada, es susceptible de aplicación industrial.

Resolución N° 2959

Ref. Expediente N° NC2018/0013255

En consecuencia, las reivindicaciones 1 a 24 cumplen los requisitos de novedad, nivel inventivo y aplicación industrial establecidos en la normatividad citada en precedencia y este Despacho encuentra procedente conceder para las mismas la patente solicitada.

SÉPTIMO: Que de acuerdo con la modificación presentada por el solicitante en el escrito radicado bajo el NC2018/0013255 el 08 de diciembre de 2019 y teniendo en cuenta el objeto concedido, se modifica el título de la invención el cual quedará de la siguiente manera: “CÁPSIDES VARIANTES DE VIRUS ADENOASOCIADOS PARA EL TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES OCULARES”

Con fundamento en las anteriores consideraciones, el Superintendente de Industria y Comercio,

RESUELVE

ARTÍCULO PRIMERO: Otorgar patente de invención a la solicitud que entró en fase nacional en virtud del Tratado de Cooperación en Materia de Patentes (PCT), para la creación titulada:

“CÁPSIDES VARIANTES DE VIRUS ADENOASOCIADOS PARA EL TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES OCULARES”

Clasificación IPC: C07K 14/075, C12Q 1/70, C12N 15/62, C12N 15/63, C12N 15/861.

Reivindicaciones: 1 a 24 incluidas en el radicado bajo el No N° NC2018/0013255 el 08 de diciembre de 2019, de acuerdo con el anexo 1.

Titular: 4D MOLECULAR THERAPEUTICS INC.

Domicilio: 5980 HORON STREET, SUITE 460 EMERYVILLE, CA 94608 (US).

Inventores: David H. KIRN, Melissa KOTTERMAN y David SCHAFFER.

Prioridades N° 13/05/2016, US (ESTADOS UNIDOS DE AMÉRICA), 62/336,441.
22/08/2016, US (ESTADOS UNIDOS DE AMÉRICA), 62/378,106.
07/09/2016, US (ESTADOS UNIDOS DE AMÉRICA), 62/384,590.
03/02/2017, US (ESTADOS UNIDOS DE AMÉRICA), 62/454,612.

Solicitud internacional N°: PCT/US2017/032542

Fecha: 12 de mayo de 2017.

Vigente desde: 12 de mayo de 2017

Hasta: 12 de mayo de 2037.

ARTÍCULO SEGUNDO: El titular tendrá los derechos y las obligaciones establecidos en la Decisión 486 de la Comisión de la Comunidad Andina y en las demás disposiciones legales vigentes sobre propiedad industrial, precisando que para mantener vigente la patente se deberá cancelar la tasa anual de mantenimiento, conforme lo dispone el artículo 80 de la referida norma comunitaria.

ARTÍCULO TERCERO: Notificar el contenido de la presente resolución a 4D MOLECULAR THERAPEUTICS INC., advirtiéndole que contra ella procede el recurso de

Resolución N° **2959**

Ref. Expediente N° NC2018/0013255

reposición, ante el Superintendente de Industria y Comercio, el cual podrá ser interpuesto en el momento de la notificación o dentro de los diez (10) días hábiles siguientes a ella.

NOTIFÍQUESE Y CÚMPLASE

Dada en Bogotá D.C., el 3 de febrero de 2020



ANDRÉS BARRETO GONZÁLEZ
SUPERINTENDENTE DE INDUSTRIA Y COMERCIO

Firmado digitalmente
por: ANDRES
BERNARDO BARRETO
GONZALEZ
Fecha: 2020.02.03
17:02:38 COT
Razón: Validez jurídica.
Ubicación: Bogotá,
Colombia.



ANEXO 1

REIVINDICACIONES CONCEDIDAS

1. Una proteína de la cápside del virus adenoasociado (AAV) variante que comprende una inserción peptídica en el bucle GH de la proteína de la cápside con respecto a una proteína de la cápside del AAV parental correspondiente, en donde la inserción peptídica comprende la secuencia de aminoácidos ISDQTKH (SEQ ID NO: 14).
2. La proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con la reivindicación 1, en donde la inserción peptídica comprende la secuencia de aminoácidos $Y_1Y_2ISDQTKHY_3$, en donde cada Y_1 - Y_3 se selecciona de manera independiente de Ala, Leu, Gly, Ser, Thr, y Pro.
3. La proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con la reivindicación 2, en donde la inserción peptídica comprende o consiste en la secuencia de aminoácidos LAISDQTKHA (SEQ ID NO: 28).
4. La proteína de la cápside del AAV variante de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, en donde el sitio de inserción se localiza entre los aminoácidos correspondientes a los aminoácidos 587 y 588 en VP1 del AAV2 (SEQ ID NO: 2) o la posición correspondiente en la proteína de la cápside de otro serotipo de AAV.
5. La proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1-4, en donde la proteína de la cápside comprende una o más sustituciones de aminoácidos con respecto a la VP1 del AAV2 (SEQ ID NO: 2) o una o más sustituciones correspondientes en la proteína de la cápside de otro serotipo de AAV.
6. La proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1-5, en donde la proteína de la cápside comprende una o más de las siguientes sustituciones de aminoácidos con respecto a la VP1 del AAV2 (SEQ ID NO: 2) o la(s) sustitución(es) correspondiente(s) a la proteína de la cápside de otro serotipo de AAV: M1L, L15P, P34A, N57D, N66K, R81Q, Q101R, S109T, R144K, R144M, Q164K, T176P, L188I, S196Y, G226E, G236V, I240T, P250S, N312K, P363L, D368H, N449D, T456K, S463Y, D472N, R484C, A524T, P535S, N551S, A593E, I698V, V708I, V719M, S721L, y L735Q..
7. La proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con la reivindicación 6, en donde la proteína de la cápside comprende una sustitución de aminoácido P34A con respecto a la VP1 del AAV2 (SEQ ID NO: 2) o la sustitución correspondiente en la proteína de la cápside de otro serotipo de AAV.



Resolución N° **2959**

Ref. Expediente N° NC2018/0013255

8. La proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con la reivindicación 7, en donde la proteína de la cápside comprende una secuencia de aminoácidos al menos 90 % idéntica, al menos 95 % idéntica, al menos 99 % idéntica o 100% idéntica a la longitud completa de la secuencia de aminoácidos descrita en SEQ ID NO: 42.
9. La proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con la reivindicación 8, en donde la proteína de la cápside consiste esencialmente de una secuencia de aminoácidos descrita en SEQ ID NO: 42.
10. Un ácido nucleído aislado que comprende una secuencia de nucleótidos que codifica una proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1-10.
11. Un virión infeccioso (rAAV) que comprende una proteína de la cápside del AAV variante de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1-9.
12. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 11, que además comprende un ácido nucleico heterólogo que codifica un producto génico.
13. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 12, en donde el producto génico es una proteína o un ARN de interferencia corto.
14. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 13, en donde la proteína de la cápside del AAV variante comprende una secuencia de aminoácidos que posee al menos 90%, al menos 95%, o al menos 99% identidad de aminoácidos con la secuencia de aminoácidos descrita en la SEQ ID NO: 42 y en donde el ácido nucleico heterólogo comprende una secuencia de nucleótidos que codifica una proteína escolta Rab-1.
15. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 14, en donde la cápside del AAV variante consiste en la secuencia de aminoácidos descrita en SEQ ID NO: 42 y en donde la secuencia de nucleótidos que codifica la proteína escolta Rab-1 está unida operativamente a un promotor CAG.
16. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 13, en donde la proteína de la cápside de AAV variante comprende una secuencia de aminoácidos que posee al menos 90%, al menos 95%, o al menos 99% de identidad de aminoácidos con la secuencia de aminoácidos descrita en la SEQ ID NO: 42 y en donde el ácido nucleico heterólogo comprende una secuencia de nucleótidos que codifica una proteína reguladora de la GTPasa de retinitis pigmentosa.
17. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 16, en donde la proteína de cápside del AAV variante comprende o consiste en la secuencia de aminoácidos que se



Resolución N° 2959

Ref. Expediente N° NC2018/0013255

describe en SEQ ID NO: 42.

18. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 17, en donde la secuencia de nucleótidos que codifica la proteína reguladora de la GTPasa de retinitis pigmentosa está operativamente unida con un promotor de rodopsina quinasa.
19. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 13, en donde la proteína de la cápside del AAV variante comprende una secuencia de aminoácidos que posee al menos un 90%, al menos un 95%, o al menos un 99% de identidad de aminoácidos con la secuencia de aminoácidos que se describe en la SEQ ID NO: 42 y en donde el ácido nucleico heterólogo comprende una secuencia de nucleótidos que codifica un polipéptido que inhibe la actividad del factor de crecimiento endotelial vascular (VEGF).
20. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 19, en donde la proteína de cápside del AAV variante comprende o consiste en la secuencia de aminoácidos que se describe en SEQ ID NO: 42.
21. El virión rAAV de acuerdo con la reivindicación 20, en donde el polipéptido es una proteína de fusión o un anticuerpo.
22. Una composición farmacéutica que comprende un virión rAAV de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 13-21 y un excipiente farmacéuticamente aceptable.
23. Un método *in vitro* para poner en contacto un ácido nucleico heterólogo con una célula retiniana que comprende contactar la célula retiniana con un virión rAAV de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 13-21 o una composición farmacéutica de acuerdo con la reivindicación 23.
24. El método *in vitro* de acuerdo con la reivindicación 23, en donde la célula retiniana, se selecciona del grupo que consiste en células ganglionares retinianas, células amacrinas, células horizontales, células bipolares, células fotorreceptoras, células gliales de Müller, células microgliales y epitelio pigmentar retinal.