

**REPÚBLICA DE COLOMBIA**  
**SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO**

Oficio N° 13680 de 27 de agosto de 2021

Ref. Expediente N° NC2018/0012082

Señor(a)

RESEARCH INSTITUTE AT NATIONWIDE CHILDREN'S HOSPITAL

TÍTULO DE LA SOLICITUD: **“VECTORES DEL VIRUS ADENOASOCIADO DE B-SARCOGLICANO Y MICROARN29 PARA EL TRATAMIENTO DE LA DISTROFIA MUSCULAR”**

NÚMERO DE SOLICITUD INTERNACIONAL: PCT/US2017/027583.

FECHA DE PRESENTACIÓN INTERNACIONAL: 14 de abril de 2017.

PRIORIDADES: US 62/433,548 13/12/2016.

US 62/323,333 15/04/2016.

Como resultado del examen de patentabilidad realizado a la solicitud indicada en la referencia, atendiendo a lo consagrado en el artículo 45 de la Decisión 486 de 2000, se le comunica que esta Dirección ha encontrado que la materia objeto de solicitud no cumple con algunos requisitos establecidos en la Decisión, con fundamento en los siguientes aspectos:

**1. Modificaciones presentadas** (Art. 34 Decisión 486)

Se aceptan las modificaciones radicadas el 11 de junio de 2021, bajo el número NC2018/0012082, por ajustarse a los requisitos legales.

**2. Objeto de la invención**

De acuerdo con lo establecido en el numeral 1.2.2.2 del Capítulo Primero del Título X de la Circular Única para efectos del examen de patentabilidad, cuando la solicitud contenga más de diez (10) reivindicaciones y no se haya pagado la tasa complementaria, sólo se estudiarán las cubiertas por la tasa pagada al momento de realizar el examen de patentabilidad consagrado en el artículo 45 de la Decisión 486. Por lo tanto, se estudiarán las reivindicaciones 1 a 16 del radicado N° NC2018/0012082 del 11 de junio de 2021.

El problema planteado en esta solicitud consiste en la necesidad de proporcionar tratamiento para reducir y prevenir la distrofia muscular de cinturas tipo 2E (LGMD2E).

Para resolver este problema técnico, la solicitud en estudio proporciona un vector AAV recombinante, caracterizado porque comprende una secuencia de polinucleótido que codifica  $\beta$ -sarcoglicano, en donde la secuencia de polinucleótido que codifica  $\beta$ -sarcoglicano comprende la secuencia de nucleótidos de SEQ ID NO: 1.

**3. De la solicitud de patente**

**3.1. Reivindicaciones** (Art. 30 Decisión 486)

- La reivindicación 1 no es clara porque menciona *“la secuencia de polinucleótido que codifica  $\beta$ -sarcoglicano se liga operablemente a un elemento de control de musculo específico y el polinucleótido”*. Tal como está redactada la reivindicación, no se entiende a que polinucleótido se refiere al final de la frase. Se sugiere realizar las correcciones en la redacción de la reivindicación.



Oficio N° 13680 de 27 de agosto de 2021

Ref. Expediente N° NC2018/0012082

- La reivindicación 3 no es concisa respecto a la reivindicación 1, toda vez que tiene el mismo alcance. Se sugiere eliminar la reivindicación 3.
- La reivindicación 11 no tiene sustento porque menciona “una secuencia de nucleótidos que es al menos el 96% idéntico a la SEQ ID NO: 3”, sin que se evidencie en el capítulo descriptivo el desarrollo de variantes y pruebas técnicas, que correspondan con dicha variación en el porcentaje de identidad. Se sugiere definir la secuencia de nucleótidos únicamente por su SEQ ID NO.

**4. Determinación del Estado de la Técnica**

La fecha para determinar el estado de la técnica es el 15 de abril de 2016 que corresponde a la fecha de presentación de la solicitud de prioridad.

Consultadas las fuentes de información con que se cuenta, se encontraron los siguientes documentos que anticipan el objeto de esta solicitud:

| Ítem | Documento                                                          | Título                                                                                       | Fecha de Publicación     |
|------|--------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------|
| D1   | Pozsgai E. <i>et al.</i> , <i>Neurology</i> . 82, 10. Supple, 1-3. | “β-Sarcoglycan Gene Transfer Leads to Functional Improvement in a Model of LGMD2E (S61.002)” | 08 de abril de 2014      |
| D2   | US5672694                                                          | “β-sarcoglycan nucleic acid sequence, and nucleic acid probes”                               | 30 de septiembre de 1997 |

El documento D1<sup>1</sup> divulga un vector AAV recombinante que comprende una secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano para tratamiento de la Distrofia muscular de cinturas tipo 2E (LGMD2E) (Resumen).

El documento D2<sup>2</sup> divulga secuencias que codifican la secuencia la proteína β-sarcoglicano (SEQ ID NO: 1, SEQ ID NO: 2, Resumen, Reivs. 1-17).

**5. Examen de Patentabilidad (Art. 14 Decisión 486)**

**5.1 Nivel Inventivo (Art. 18 Decisión 486)**

La reivindicación 1 consiste en: “Un vector AAV recombinante, caracterizado porque comprende una secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano, en donde la secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano comprende una secuencia de nucleótidos de SEQ ID NO: 1 y en donde la secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano se liga operablemente a un elemento de control de músculo específico y el polinucleótido”. (Radicado N° NC2018/0012082 del 11 de junio de 2021).

**Tabla 1.** Comparación de las características técnicas esenciales, con las del estado de la técnica:

| Características esenciales | D1 | D2 |
|----------------------------|----|----|
|----------------------------|----|----|

<sup>1</sup>Pozsgai E., et al., (2014). β-Sarcoglycan Gene Transfer Leads to Functional Improvement in a Model of LGMD2E (S61.002). *Neurology* 82 (10 Supplement). Recuperado desde: [https://n.neurology.org/content/82/10\\_Supplement/S61.002](https://n.neurology.org/content/82/10_Supplement/S61.002).

<sup>2</sup><https://patentimages.storage.googleapis.com/b2/81/86/f45c356234bb13/US5672694.pdf>

Oficio N° 13680 de 27 de agosto de 2021

Ref. Expediente N° NC2018/0012082

|                                                                                                                                                                                          |                                                                                                                      |                                                                                            |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------|
| Un vector AAV recombinante, caracterizado porque comprende                                                                                                                               | Un vector AAV recombinante, caracterizado porque comprende (Resumen)                                                 | Una secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano SEQ ID NO:1 (Resumen, Reiv. 1) |
| una secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano, en donde la secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano comprende una secuencia de nucleótidos de SEQ ID NO:1 y | una secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano (Resumen)                                                |                                                                                            |
| en donde la secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano se liga operablemente a un elemento de control de músculo específico y el polinucleótido.                            | en donde la secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano se liga operablemente al promotor tMCK (Resumen) |                                                                                            |

El documento D1 se considera el estado de la técnica más cercano a la invención definida en la reivindicación 1 porque divulga un vector AAV recombinante que comprende una secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano para tratamiento de la Distrofia muscular de cinturas tipo 2E (LGMD2E) y en donde la secuencia de polinucleótido que codifica β-sarcoglicano se encuentra unido a promotor tMCK (Resumen).

La diferencia entre la invención definida en la reivindicación 1 y el vector AAV recombinante divulgado de D1 consiste en la secuencia SEQ ID NO: 1.

No hay efecto técnico al incluir la SEQ ID NO: 1. Toda vez que, no es claro en la reivindicación a que otro “*polinucleótido*” se refiere cuando menciona que “*el polinucleótido que codifica β-sarcoglicano se liga operablemente a un elemento de control de musculo específico y el polinucleótido*”. En consecuencia, no es posible asociar efecto técnico a la materia reclamada.

Por lo tanto, el problema técnico objetivo que pretende resolver esta invención se puede formular así: ¿Cómo modificar el vector AAV conocido en D1 con el fin de obtener un vector AAV recombinante que exprese la proteína β-sarcoglicano alternativo?

Sin embargo, el incluir una secuencia polinucleotídica que codifique la proteína β-sarcoglicano para tratar la distrofia muscular de cinturas tipo 2E (LGMD2E) ya está divulgado en el documento D2 que se refiere a secuencias que codifican la secuencia la proteína β-sarcoglicano (SEQ ID NO: 1, SEQ ID NO: 2, Resumen, Reivs. 1-17). Adicionalmente, el documento D2 menciona que la invención puede comprender vectores de expresión y composiciones que comprendan el vector y el ácido nucleico que codifica para la proteína β-sarcoglicano (Col. 2, párr. [2], Col. 3, párr. [3]).

En consecuencia, la persona normalmente versada en la materia, estaría motivada a incluir una secuencia polinucleotidica que codifique la proteína β-sarcoglicano del documento D2 en el vector AAV de D1, para así llegar al objeto de la reivindicación 1. Por lo cual se considera obvia.

Adicionalmente, el documento D1 menciona: vector AAVrh74 que contiene el gen de β-sarcoglicano humano optimizado (hSGCB) dirigido por el promotor tMCK (Resumen).

Las reivindicaciones dependientes 2 a 16 no mencionan alguna característica que, junto con las características de la reivindicación independiente, aporte nivel inventivo al vector AAV de la reivindicación 1, por lo cual se considera que no tienen nivel inventivo.

Oficio N° 13680 de 27 de agosto de 2021

Ref. Expediente N° NC2018/0012082

## 6. Conclusión con respecto a novedad y/o nivel inventivo

Los requisitos de Patentabilidad de la presente solicitud están afectados así:

| Ítem | Documento                                          | Reivindicaciones afectadas | Requisito que afecta |
|------|----------------------------------------------------|----------------------------|----------------------|
| D1   | Pozsgai E. et al., Neurology. 82, 10. Supple, 1-3. | 1 a 16                     | Nivel Inventivo      |
| D2   | US5672694                                          | 1 a 16                     | Nivel inventivo      |

## 7. Respuesta a los argumentos del solicitante

### Argumentos respecto a claridad y concisión de las reivindicaciones

El solicitante argumenta que *“En consecuencia, nos permitimos indicar que el presente capítulo reivindicatorio, que incluye dieciseis (16) reivindicaciones, se ajusta a las disposiciones del artículo 30 de la Decisión 486/00.”*

Se aclara al solicitante que, en el capítulo reivindicatorio radicado N° NC2018/0012082 del 11 de junio de 2021 persisten objeciones por claridad, tal como se mencionó en el numeral 3.1.

### Argumentos respecto a Novedad

El solicitante argumenta que *“De acuerdo con lo anterior, la solicitante desea manifestar respetuosamente su desacuerdo, ya que teniendo en cuenta las modificaciones presentadas en el nuevo capítulo reivindicatorio, se superan las objeciones realizadas, por cuanto **dichas características no se encuentran divulgadas individualmente en los documentos citados por el examinador.**”*

Al respecto, esta Oficina se permite manifestar que, de acuerdo con el capítulo reivindicatorio modificado radicado N° NC2018/0012082 del 11 de junio de 2021 y el presente examen de patentabilidad, la solicitud tal y como esta reivindicada es nueva. Sin embargo, se traslada un nuevo examen de patentabilidad que afecta el nivel inventivo de la presente solicitud.

### Argumentos respecto a Nivel Inventivo

El solicitante argumenta que *“De esta forma, teniendo en cuenta que los documentos D1 y D2 **no mencionan, describen o sugieren**, en forma individual o en combinación, todas las características técnicas reclamadas como se describen en la presente invención, **dichas reivindicaciones son novedosas, e inventivas sobre el estado del arte.**”*

Se aclara al solicitante que, de acuerdo con el examen de patentabilidad, se encuentra que el documento D1 es el más cercano en el estado de la técnica porque menciona un vector AAV recombinante que comprende una secuencia de polinucleótido que codifica  $\beta$ -sarcoglicano para tratamiento de la Distrofia muscular de cinturas tipo 2E (LGMD2E) y en donde la secuencia de polinucleótido que codifica  $\beta$ -sarcoglicano se encuentra unido a promotor tMCK (Resumen), donde la diferencia entre el documento D1 y la invención es la secuencia de nucleótidos de SEQ ID NO: 1. Ahora bien, no es posible asociar efecto técnico toda vez que no es clara a que otro *“polinucleótido”* se refiere la reivindicación 1 cuando menciona *“el polinucleótido que codifica  $\beta$ -sarcoglicano se liga operablemente a*



Oficio N° **13680** de **27 de agosto de 2021**

Ref. Expediente N° NC2018/0012082

*un elemento de control de musculo específico y el polinucleótido*”. En este punto, es importante aclarar que, los resultados inesperados reportados en el capítulo descriptivo por el solicitante se asocian a la secuencia de nucleótidos de SEQ ID NO: 1. Sin embargo, el documento D2 se refiere a secuencias que codifican la proteína la proteína  $\beta$ -sarcoglicano (SEQ ID NO: 1, SEQ ID NO: 2, Resumen, Reivs. 1-17). Asimismo, este documento D2 menciona vectores de expresión y composiciones que comprendan el vector y el ácido nucleico que codifica para la proteína  $\beta$ -sarcoglicano (Col. 2, párr. [2], Col. 3, párr. [3]). En consecuencia, a la luz de estos documentos D1 y D2 no es posible asociar nivel inventivo a la materia reclamada.

En cumplimiento del artículo 45 de la Decisión 486 de 2000, se le indica que debe dar respuesta dentro del término de sesenta (60) días contados a partir de la fecha de notificación de la presente comunicación. En caso de no dar respuesta al presente requerimiento, o si a pesar de la respuesta subsistieran los impedimentos para la concesión, se denegará la patente.

Si como respuesta a este requerimiento, el solicitante modifica el capítulo reivindicatorio, deberá observar las instrucciones contenidas en el numeral 1.2.2.1.1., del Capítulo Primero del Título X de la Circular Única de esta Superintendencia. De igual forma, deberá tener presente que de conformidad con el literal a) del numeral 1.2.2.5.1. de la norma ibidem, será necesario acreditar el pago de la tasa por concepto de modificación a solicitudes en trámites, de conformidad con el valor establecido en la resolución de tasas vigentes.

Notifíquese el presente oficio conforme a lo dispuesto en el numeral 6.2 del Capítulo Sexto del Título I de la Circular Única, informándoles que contra el mismo no procede recurso alguno en actuación administrativa.



Edna Marcela Ramirez Orozco  
**DIRECTORA DE NUEVAS CREACIONES**



Oficio N° 13680 de 27 de agosto de 2021

Ref. Expediente N° NC2018/0012082

**INFORME DE BÚSQUEDA**  
**EXAMEN DE PATENTABILIDAD**

|                                                            |   |                                            |   |           |   |                                        |              |        |  |
|------------------------------------------------------------|---|--------------------------------------------|---|-----------|---|----------------------------------------|--------------|--------|--|
| Solicitud No.                                              |   | Examen de patentabilidad                   |   |           |   |                                        |              |        |  |
| NC2018/0012082                                             |   | 1°                                         |   | 2°        |   | 3°                                     | X            | Revoca |  |
| Solicitud Internacional No.                                |   | Fecha solicitud internacional: (DD/MM/AÑO) |   |           |   |                                        |              |        |  |
| PCT/US2017/027583                                          |   | 14 de abril de 2017                        |   |           |   |                                        |              |        |  |
| Fecha de determinación estado de la técnica<br>(DD/MM/AÑO) |   |                                            |   | Prioridad |   |                                        | Presentación |        |  |
| 15/04/2016                                                 |   |                                            |   | X         |   |                                        |              |        |  |
| Solicitante                                                |   |                                            |   |           |   |                                        |              |        |  |
| RESEARCH INSTITUTE AT NATIONWIDE CHILDREN'S HOSPITAL       |   |                                            |   |           |   |                                        |              |        |  |
| Reivindicaciones que no son objeto de búsqueda por:        |   |                                            |   |           |   |                                        |              |        |  |
| Art. 14                                                    | - | Art. 15                                    | - | Art. 20   | - | Art. 25 (Falta de unidad de invención) |              | -      |  |

|                                             |                                                                 |
|---------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------|
| CRITERIOS DE BÚSQUEDA                       |                                                                 |
| Reivindicaciones objeto de búsqueda         | 1 a 16                                                          |
| Palabras clave utilizadas                   | Sarcoglycan, beta-sarcoglycan, AAV, adeno-associated            |
| Clasificaciones utilizadas para la búsqueda | CIP: A61K 48/00, A61P 21/00, C07K 14/47, C12N 15/12, C12N 15/85 |

|                                                                                                                     |                                                                       |                                                 |                                                                                                                                                                |                                                                                        |                                               |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------|
| DOCUMENTOS CONSIDERADOS RELEVANTES<br>(Documentos patente, Literatura no patente (LNP): Artículos, catálogos, etc.) |                                                                       |                                                 |                                                                                                                                                                |                                                                                        |                                               |
| Informes de búsqueda / Bases de datos consultadas                                                                   | N° de solicitud de patente / N° de patente / Autor LNP <sup>(1)</sup> | Fecha de Publicación /Presentación (DD/MM/AAAA) | Reivindicaciones /Secuencias afectadas                                                                                                                         | Citas relevantes del estado de la técnica                                              | Categoría del documento citado <sup>(2)</sup> |
| The Lens                                                                                                            | US2006/0154250                                                        | 12/07/2006                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US2007/0099251                                                        | 02/05/2007                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US2010/0075866                                                        | 24/03/2010                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US2012/0087862                                                        | 11/04/2012                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
| USPTO                                                                                                               | US2014/0010861                                                        | 08/01/2014                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US5672694                                                             | 30/09/1997                                      | 1 a 16                                                                                                                                                         | SEQ ID NO: 1, SEQ ID NO: 2, Resumen, Reivs. 1-17, Col. 2, párr. [2], Col. 3, párr. [3] | Y                                             |
|                                                                                                                     | US2011/0301226                                                        | 08/12/2011                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US2006/0154250                                                        | 13/07/2006                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | Pozsgai E. et al., Neurology. 82, 10. Supple, 1-3.                    | 08 de abril de 2014                             | 1 a 16                                                                                                                                                         | Resumen                                                                                | Y                                             |
| Patbase                                                                                                             | US2011294193                                                          | 01/12/2011                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US2011104120                                                          | 05/05/2011                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US2014/323956                                                         | 30/10/2014                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US2003/225260                                                         | 04/12/2003                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
|                                                                                                                     | US2001/029040                                                         | 11/10/2001                                      | -                                                                                                                                                              | -                                                                                      | A                                             |
| <sup>(1)</sup> Cita completa literatura no patente (LNP)                                                            |                                                                       |                                                 | Pozsgai E. et al., (2014). β-Sarcoglycan Gene Transfer Leads to Functional Improvement in a Model of LGMD2E (S61.002). <i>Neurology</i> . 82, 10. Supple, 1-3. |                                                                                        |                                               |

Oficio N° 13680 de 27 de agosto de 2021

Ref. Expediente N° NC2018/0012082

| (2) Categorías de documentos citados                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <p>“A” Documento que define el estado general de la técnica no considerado como particularmente relevante.</p> <p>“E” Solicitud de patente o patente anterior pero publicada en la fecha de presentación internacional o en fecha posterior.</p> <p>“L” Documento citado para llamar la atención sobre por ejemplo, dudas acerca de una reivindicación de prioridad o para determinar la fecha de publicación de otra cita, siempre van acompañados de una explicación, por la cual se citan.</p> <p>“O” Documento del tipo actas de conferencia, este tipo de documentos siempre estará acompañado por otra letra que indique la pertinencia del documento, por ejemplo, O,X, O,Y o bien O,A.</p> <p>“P” Documento publicado antes de la fecha de presentación internacional pero con posterioridad a la fecha de prioridad reivindicada.</p> | <p>“T” Documento publicado en fecha posterior a la de presentación o la de prioridad de la solicitud internacional y no entra en conflicto con dicha solicitud, pero puede ser útil para la mejor comprensión del principio o teoría en que se basa la invención, o para demostrar que el razonamiento o los hechos en los que se basa dicha invención son incorrectos.</p> <p>“X” Documento particularmente relevante; la invención reivindicada no puede considerarse nueva o que implique una actividad inventiva por referencia al documento aisladamente considerado.</p> <p>“Y” Documento particularmente relevante; la invención reivindicada no puede considerarse que implique una actividad inventiva cuando el documento se asocia a otro u otros documentos de la misma naturaleza, cuya combinación resulta evidente para un experto en la materia.</p> |
| Fecha del reporte de búsqueda: (15/07/2021)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
| Examinador: Molkary Andrea López De La Torre                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                   |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |