

Señora

Directora de la Dirección de Nuevas Creaciones

Superintendencia de Industria y Comercio

Ministerio de Comercio, Industria y Turismo

E. S. D.

Re.:Expediente No. **NC2021/0017544**

Solicitud de Patente PCT entrada en Fase Nacional, para: **“FACTOR DE TRANSCRIPCIÓN TIPO NUCLEASA DE DEDOS DE ZINC O CONSTRUCCIÓN DE ARNG/DACAS9 ESPECÍFICOS PARA SCN1A Y COMPOSICIÓN QUE LOS COMPRENDE”** (nuevo título)

Solicitante: **ENCODED THERAPEUTICS, INC.**

RESPUESTA A EXAMEN DE FONDO

Yo, **MARGARITA CASTELLANOS ABONDANO**, mayor de edad, identificada y domiciliada como aparece al pie de mi firma, obrando en mi calidad de apoderada de la sociedad solicitante del asunto citado en la referencia, en atención a su oficio **No. 6118** notificado el 02 de abril de 2024, me permito dar respuesta al mismo de la siguiente manera:

1. Modificación a las Reivindicaciones y a las Figuras

De acuerdo con lo establecido en el Artículo 34 de la Decisión 486 y en vista de las observaciones realizadas por el Examinador, se presenta en esta oportunidad un nuevo pliego reivindicatorio conformado por 16 reivindicaciones y un nuevo juego de figuras. Las modificaciones introducidas son las siguientes:

- El contenido de la anterior reivindicación 5 ha sido incorporado en la reivindicación 1 y las reivindicaciones 2 a 4 no se incluyen en esta oportunidad. Las reivindicaciones restantes y sus dependencias han sido reenumeradas.

- El preámbulo de la nueva reivindicación 1 se ha ajustado para recitar el propósito del polinucleótido, de acuerdo con la amable sugerencia del Examinador.
- El contenido de las nuevas reivindicaciones 6 y 14 (anteriores reivindicaciones 10 y 12) se ha ajustado de acuerdo con las amables sugerencias del Examinador en relación con el vector AAV y las líneas celulares.
- La reivindicación 13 ha sido modificada para incluir la dependencia con las reivindicaciones del vector AAV.
- Se ha modificado la reivindicación 14 (anterior reivindicación 12) a fin de eliminar la dependencia con las reivindicaciones del vector AAV, cuya materia ahora está cubierta en la nueva reivindicación 15.
- Se adicionan las nuevas reivindicaciones 7 a 12, que se basan en las reivindicaciones 4 a 6 (anteriores reivindicaciones 8 a 10), pero difieren en su dependencia.
- La anterior reivindicación 14 no se ha incluido en esta oportunidad.
- La expresión “*construct*” ha sido sustituida por “*construcción*” en las figuras 6A y 6C, de acuerdo con la amable sugerencia del Examinador.

Estas modificaciones no amplían el objeto inicialmente solicitado y se encuentran debidamente soportadas en la Descripción, según se allegó inicialmente.

2. Modificación al Título de la Solicitud

Siguiendo la amable sugerencia del Examinador, el Solicitante desea modificar el título de la solicitud, de la siguiente manera:

**“FACTOR DE TRANSCRIPCIÓN TIPO NUCLEASA DE DEDOS DE ZINC O
CONSTRUCCIÓN DE ARNG/DACAS9 ESPECÍFICOS PARA SCN1A Y
COMPOSICIÓN QUE LOS COMPRENDE”**

Por tanto, el título cumple con los requisitos establecidos en el artículo 27 de la Decisión 486 de la Comisión de la Comunidad Andina.

3. No es una Invención y Excepción de Patentabilidad

Teniendo en cuenta las modificaciones introducidas a la reivindicación 1 y el hecho de que la anterior reivindicación 14 no ha sido incluida en esta oportunidad, es posible establecer que las reivindicaciones no incluyen materia excluida de patentabilidad, de acuerdo a la Decisión 486 de la Comisión de la Comunidad Andina.

4. Claridad y Concisión de las Reivindicaciones

En este sentido, se desea indicar que las modificaciones introducidas en las reivindicaciones permiten presentar la materia de una forma más clara y concisa. En particular:

- La nueva reivindicación 1 incorpora más detalles estructurales sobre la invención, definiendo así claramente la estructura del polipéptido reivindicado, de acuerdo con el soporte proporcionado por la Descripción.
- Se han modificado las nuevas reivindicaciones 6 y 14 con el fin de definir claramente el vector y las líneas celulares, de acuerdo con la invención, respectivamente.

Por otro lado, discrepamos de la opinión del Examinador respecto a la anterior reivindicación 6 (nueva reivindicación 2). Tal y como recoge la Guía para el Examen de Patente de Invención y Modelo de Utilidad (ver apartado 4.3.12, publicación del 2023):

- *“El resultado a alcanzar no es una característica técnica de la invención. Puede aparecer en la reivindicación, pero siempre acompañando las características técnicas que definen la invención”.*

En vista de lo anterior, se puede establecer que la nueva reivindicación 2, la cual depende de la reivindicación 1, es decir, incorpora los detalles estructurales del polipéptido de acuerdo con la invención, incluye la referencia al resultado del microRNA para fines de claridad y no afecta la claridad o concisión de la materia definida. Dado que los resultados a obtener son aceptados siempre que estén acompañados de las características estructurales, la referencia al resultado del microRNA en la nueva reivindicación 2 resulta aceptable.

En relación con la nueva reivindicación 4 (anterior reivindicación 8), es importante mencionar que el Solicitante tiene derecho a reclamar protección sobre todo el concepto desarrollado y, por lo tanto, la definición del vector en términos de su contenido resulta suficiente. Del mismo modo, las nuevas reivindicaciones dependientes 5 y 6 definen detalles estructurales adicionales sobre el vector de acuerdo con la invención.

Teniendo en cuenta las anteriores aclaraciones, se establece que la presente invención cumple con los requerimientos del Artículo 30 de la Decisión 486 de la Comisión de la Comunidad Andina.

5. Descripción

Según el Examinador, la Descripción no divulga la invención de una manera suficientemente clara y completa para que un experto en la materia pueda reproducirla.

En este sentido, se desea llamar la atención del Examinador sobre las modificaciones que se han introducido en las reivindicaciones, en particular, el objeto ahora se define de una manera más clara y concisa. Por lo tanto, un experto en la materia puede determinar que el objeto tal como ahora se reivindica está debidamente soportado por la Descripción y que la presente invención puede reproducirse fácilmente.

Por otro lado, debe tenerse en cuenta que, de acuerdo con la legislación aplicable, la Descripción está dirigida a un experto en la materia. Esto significa que la Descripción debe proporcionar información suficiente para llevar a cabo la invención, pero que no se requiere información irrelevante o no necesaria. De acuerdo con lo establecido en la Guía para el Examen de Patente de Invención y Modelo de Utilidad (ver apartado 4.4.1, publicación del 2023):

- *“La descripción debe estar escrita en el lenguaje comprensible para la persona del oficio normalmente versada en la materia técnica teniendo en cuenta que su nivel de conocimientos es más elevado que el nivel de conocimientos del público en general, pero no excede lo que puede esperarse de una persona debidamente calificada, por lo que no debe repetirse la explicación detallada de técnicas convencionales y habituales”.*
(énfasis añadido)

Como podrá observar el Examinador, la Descripción debe contener información no sólo sobre la materia reivindicada, sino que también debe contemplar variables y modalidades adicionales que puedan resultar útiles para la interpretación en caso de una futura infracción. Por lo tanto, se considera que las objeciones sobre el contenido de la Descripción no son aplicables.

En consecuencia, se establece que la Descripción cumple con los requisitos del Artículo 28 de la Decisión 486 de la Comisión de la Comunidad Andina.

6. Figuras

En línea con las modificaciones mencionadas anteriormente, la expresión en inglés “*construct*” ha sido sustituida por la expresión en español “*construcción*”, en las figuras 6A y 6C, según la amable sugerencia del Examinador.

Por tanto, esta objeción se ve superada.

7. Nivel Inventivo

El Examinador considera que la combinación de las enseñanzas de los documentos D1 (US20190024118) y D2 (US20160046681) afecta el nivel inventivo de la presente solicitud.

De acuerdo con las modificaciones introducidas en las reivindicaciones, se determina que la nueva reivindicación 1 menciona:

- *“Un polinucleótido para aumentar la expresión de un gen SCN1A en una célula que comprende una secuencia de ácido nucleico que codifica un factor de transcripción diseñado, en donde el factor de transcripción diseñado comprende una secuencia de aminoácidos de SEQ ID NO: 127, en donde el polinucleótido comprende además un elemento regulador selectivo de neuronas de parvalbúmina (PV) unido operativamente a la secuencia de ácido nucleico que codifica el factor de transcripción diseñado, en donde el elemento regulador selectivo de neuronas PV comprende la SEQ ID NO: 2”.*

El documento D1 divulga composiciones y métodos para la expresión selectiva de un transgén en un tejido o tipo celular diana sobre uno o más tejidos o tipos celulares no diana. Composiciones y métodos para la expresión selectiva de un transgén comprenden uno o más elementos reguladores (RE) que, cuando se unen

operativamente a un transgén (por ejemplo, una subunidad de canal iónico o un regulador de neurotransmisores, o una proteína de unión a syntaxina), pueden facilitar o dar como resultado la expresión selectiva o preferencial del transgén en un tejido o tipo celular objetivo (por ejemplo, neuronas de parvalbúmina (PV)), en comparación con uno o más tipos de células no objetivo (por ejemplo, células no PV) (párrafo [0005]). Este objetivo se logra por medio de un casete de ácido nucleico que comprende un elemento regulador que comprende la SEQ ID NO: 1 operativamente unido a un transgén (reivindicación 1).

Por otra parte, el documento D2 divulga factores de transcripción artificiales que comprenden una proteína de dedo de zinc polidáctilo dirigida específicamente a una región promotora de un gen de receptor nuclear fusionada a un dominio inhibidor o activador, una secuencia de localización nuclear y un dominio de transducción de proteínas, y su uso en el tratamiento de enfermedades causadas o moduladas por la actividad de dichos receptores nucleares (párrafo [0001] y reivindicación 1).

Ninguno de estos documentos divulga o sugiere un polipéptido para aumentar la expresión de un gen SCN1A en una célula que comprende una secuencia de ácido nucleico que codifica un factor de transcripción diseñado, en donde el factor de transcripción diseñado comprende una secuencia de aminoácidos de SEQ ID NO: 127, en donde el polinucleótido comprende además un elemento regulador selectivo de neuronas parvalbúmina (PV) unido operativamente a la secuencia de ácido nucleico que codifica el factor de transcripción diseñado, en donde el elemento regulador selectivo de neuronas PV comprende la SEQ ID NO: 2.

Como ha identificado el Examinador, la presente invención se refiere a un polinucleótido que es capaz de regular positivamente la expresión del gen de la subunidad 1 del canal dependiente de voltaje de sodio alfa (SCN1A) y aumentar la expresión de su producto proteico correspondiente Nav1.1.

En vista de lo anterior, un experto en la materia no podría derivar de manera obvia el polipéptido reivindicado, y menos aún que tenga el efecto técnico reivindicado, ya que no se encuentran sugerencias claras en esta dirección en D1, D2 o su combinación.

Por tanto, es posible concluir que la presente invención resulta inventiva sobre D1 y D2.

De esta manera, se establece que la presente invención es inventiva, cumpliendo con los requerimientos del Artículo 18 de la Decisión 486 de la Comisión de la Comunidad Andina.

8. Conclusión

En vista de las modificaciones introducidas en esta oportunidad y los argumentos que se presentan, es posible establecer que las reivindicaciones cumplen con los requerimientos de la Decisión 486.

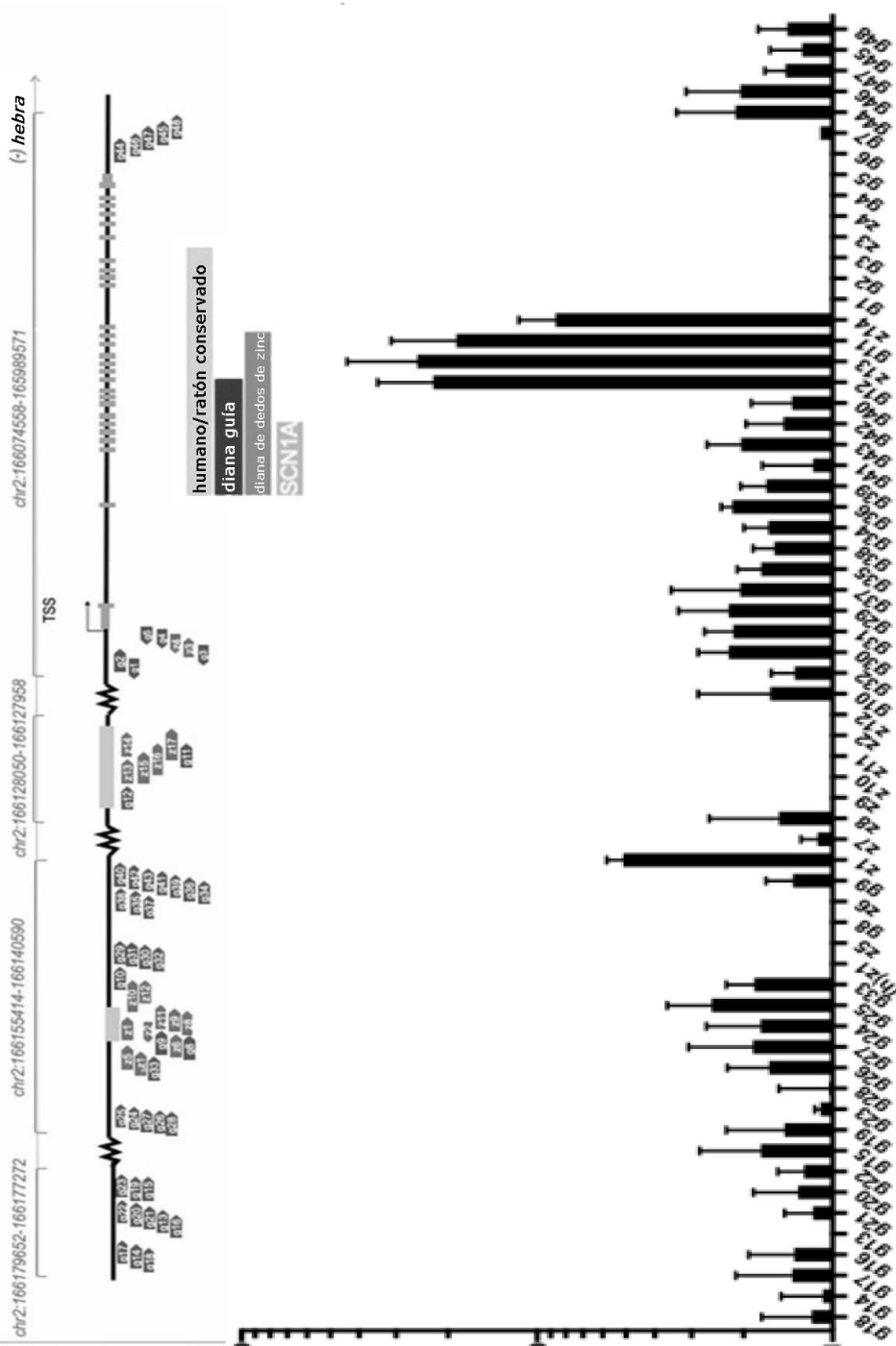
9. Anexos

- Nuevo pliego reivindicatorio conformado por 16 reivindicaciones.
- Nuevo juego de figuras.
- Copia del recibo por concepto de modificaciones a las reivindicaciones.

Señora Directora,



Margarita Castellanos Abondano
C.C. No. **39.779.654** de Bogotá
T.P.A. No. **70.819** del C.S.J.
Calle 117 No. 5A-35 - Bogotá, D.C.
Teléfono: 7560770
P5708/jms



Diferentes sitios diana

FIG. 1

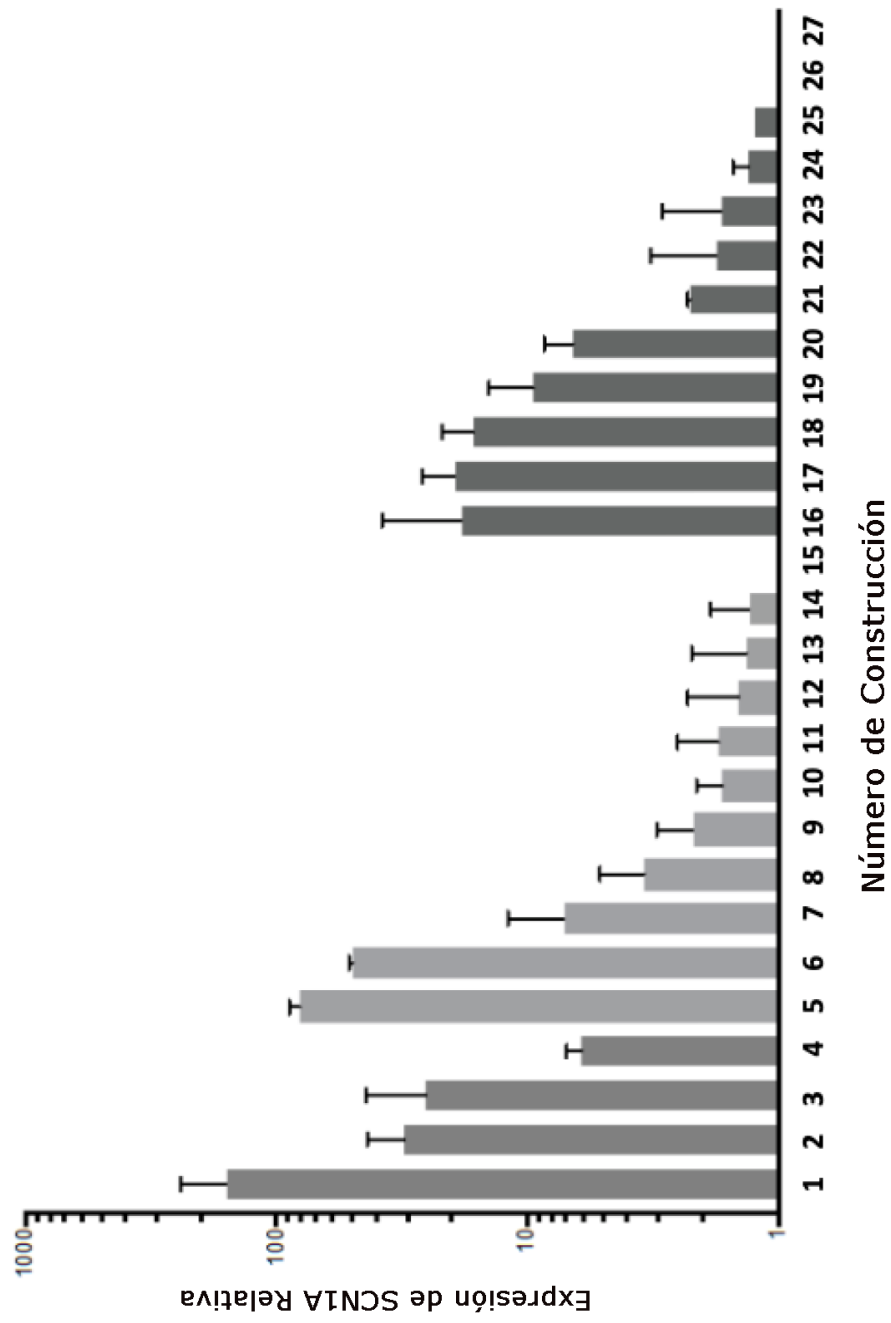


FIG. 2A

FIG. 2B

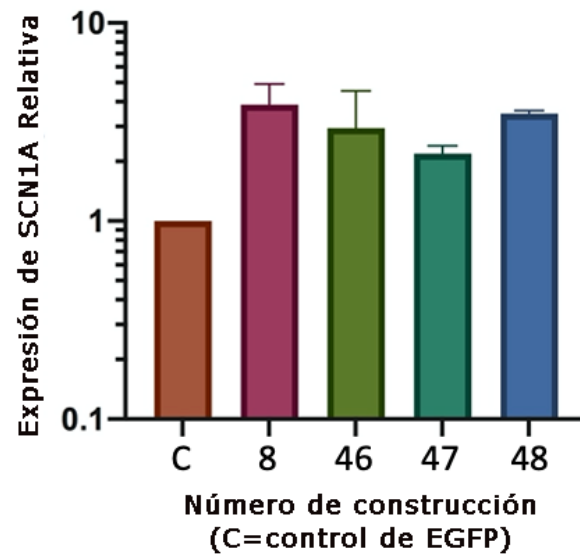


FIG. 2C

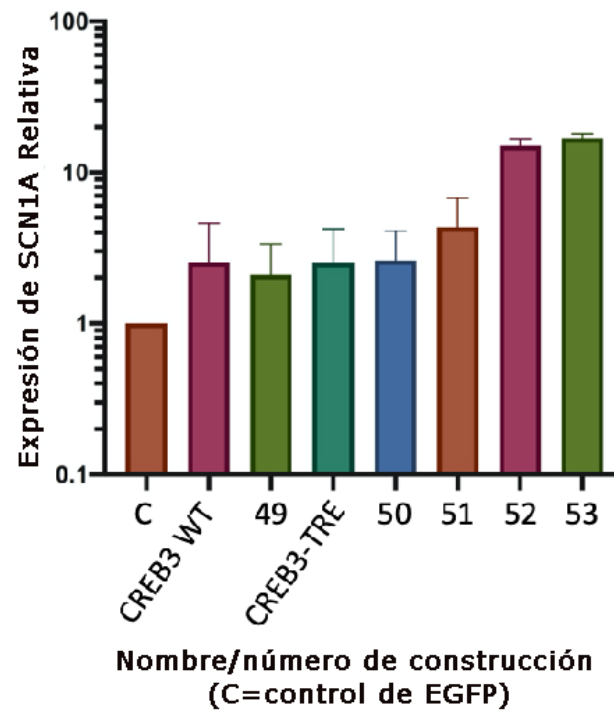


FIG. 3A

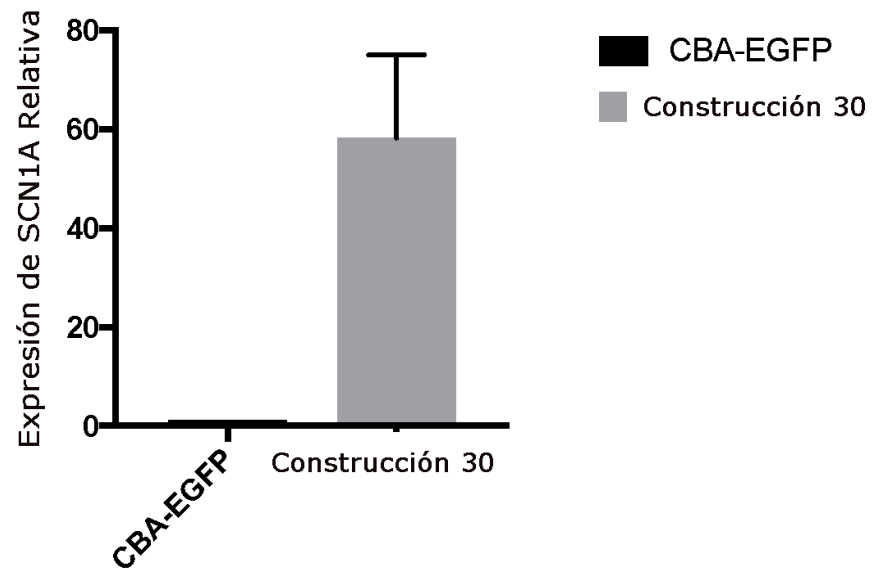
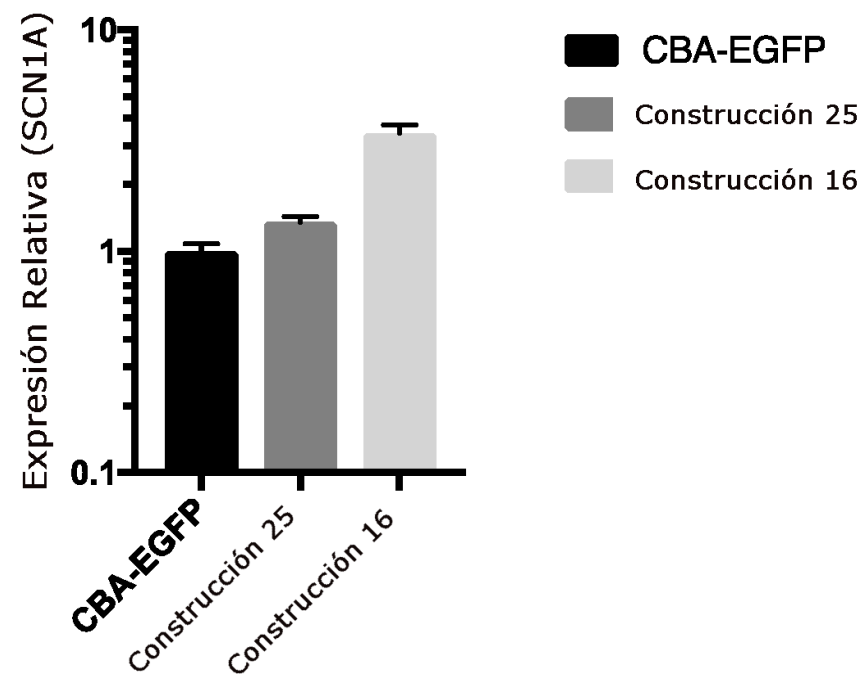


FIG. 3B



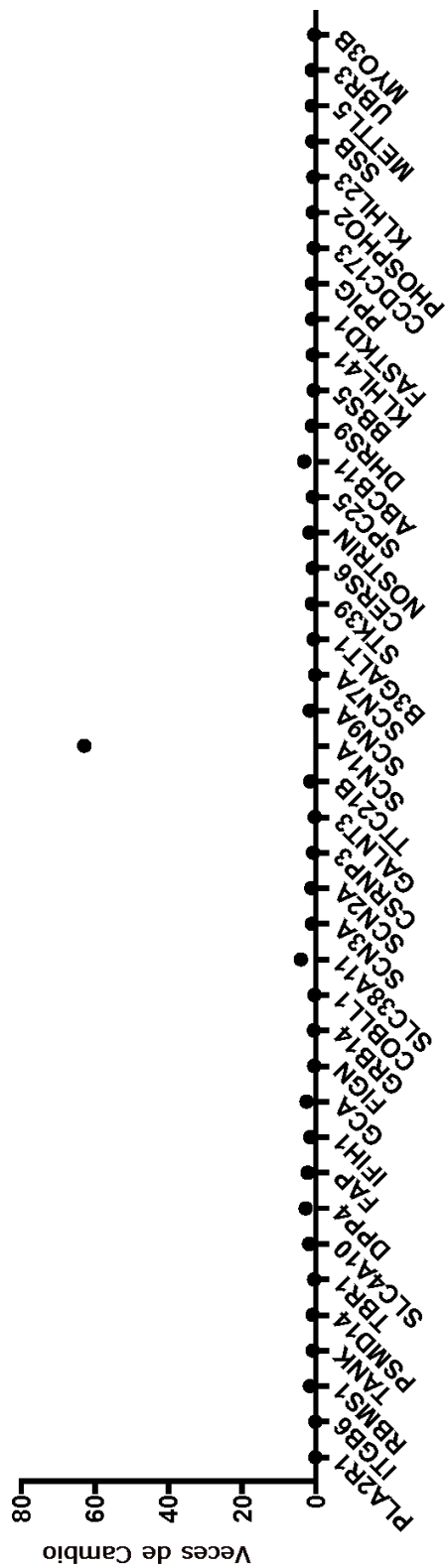


FIG. 4

FIG. 5A

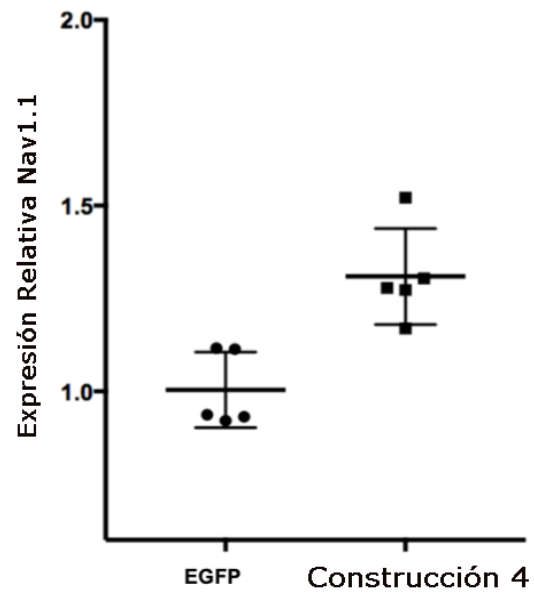


FIG. 5B

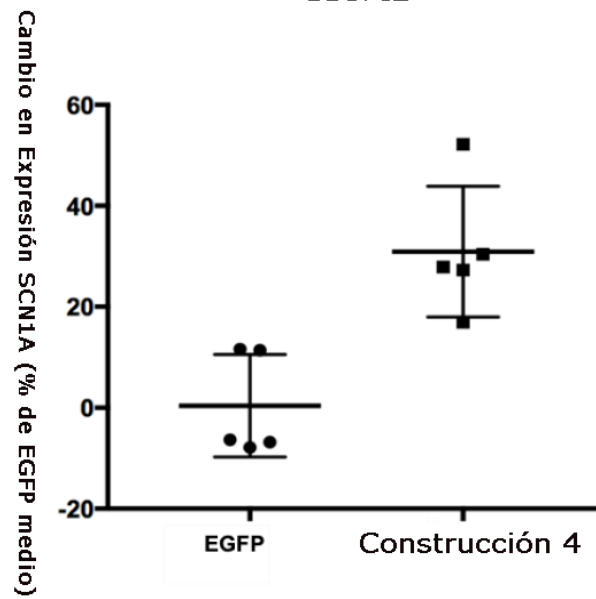


FIG. 6A

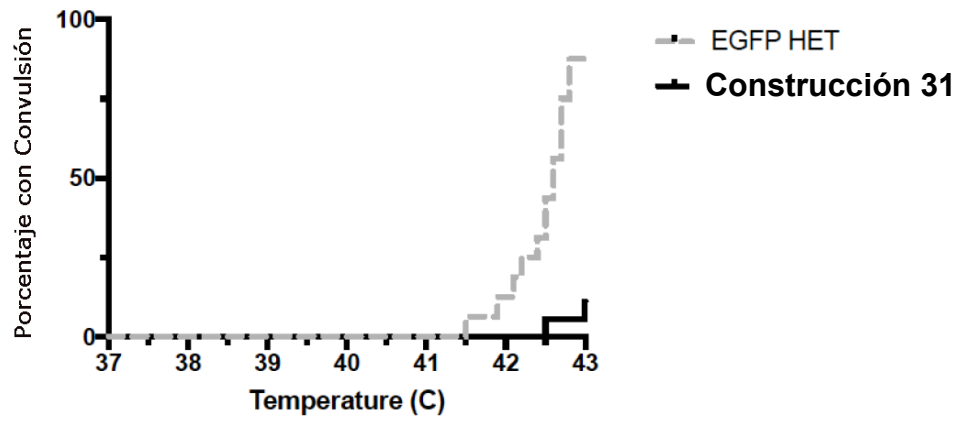


FIG. 6B

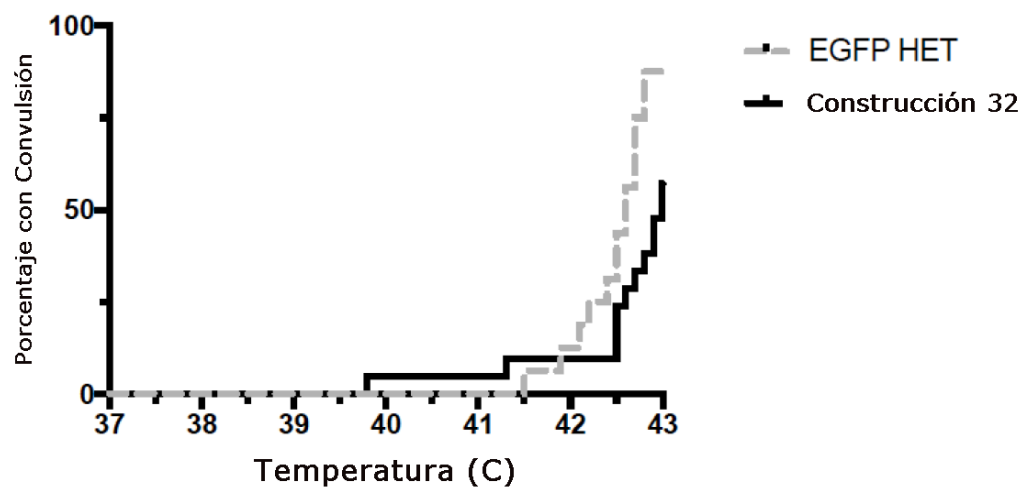


FIG. 6C

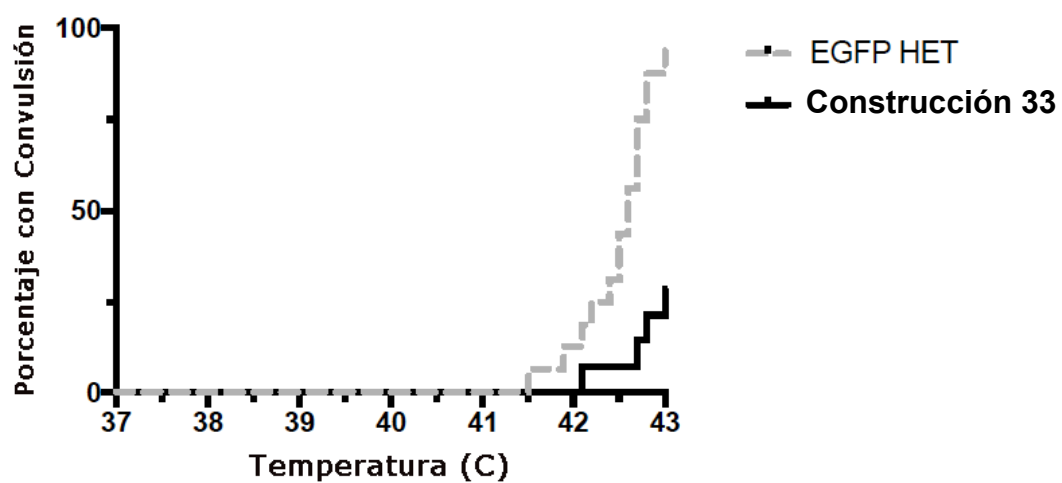


FIG. 6D

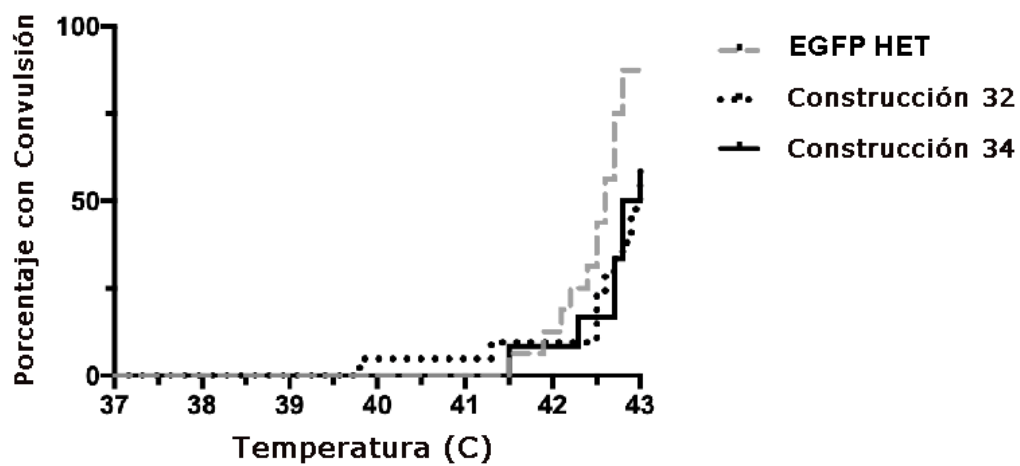


FIG. 6E

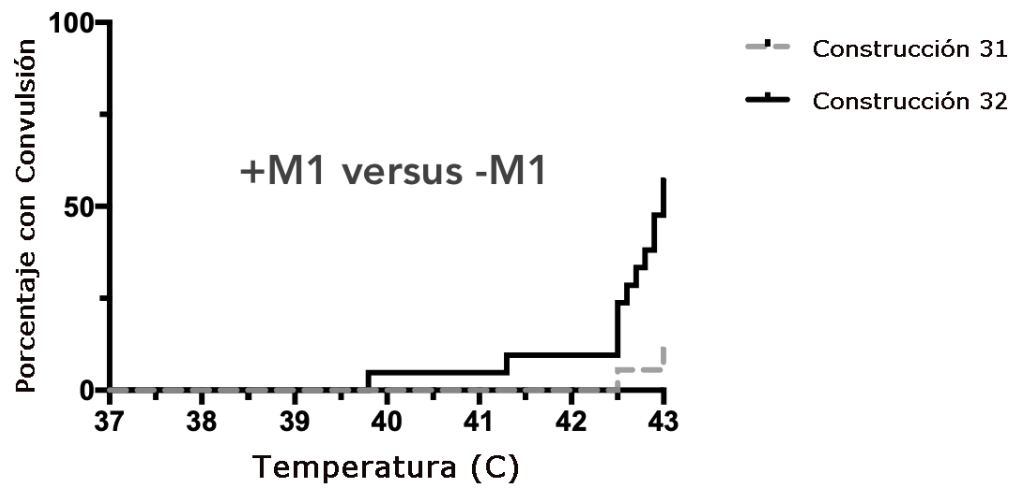


FIG. 6F

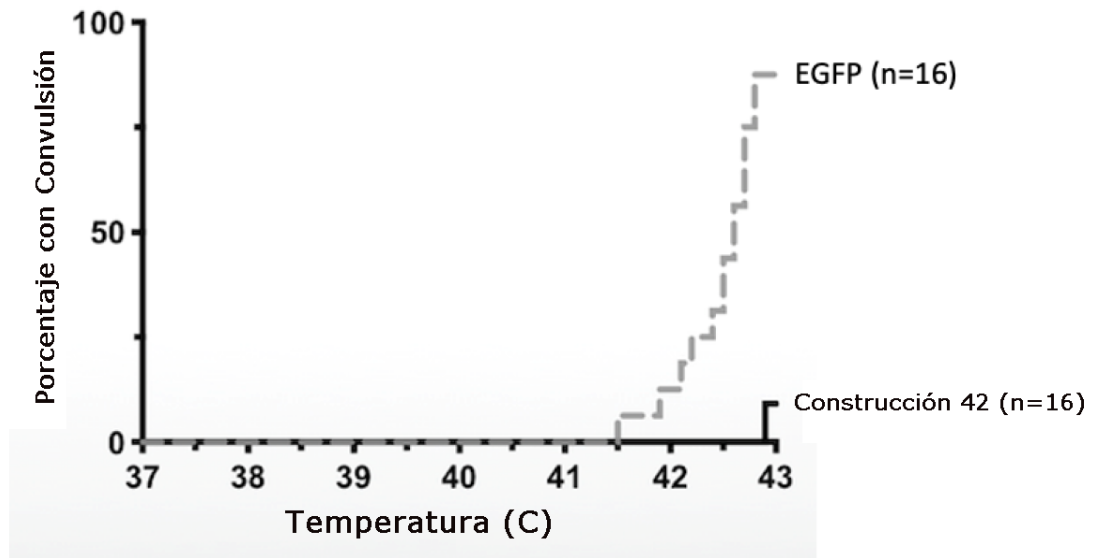


FIG. 6G

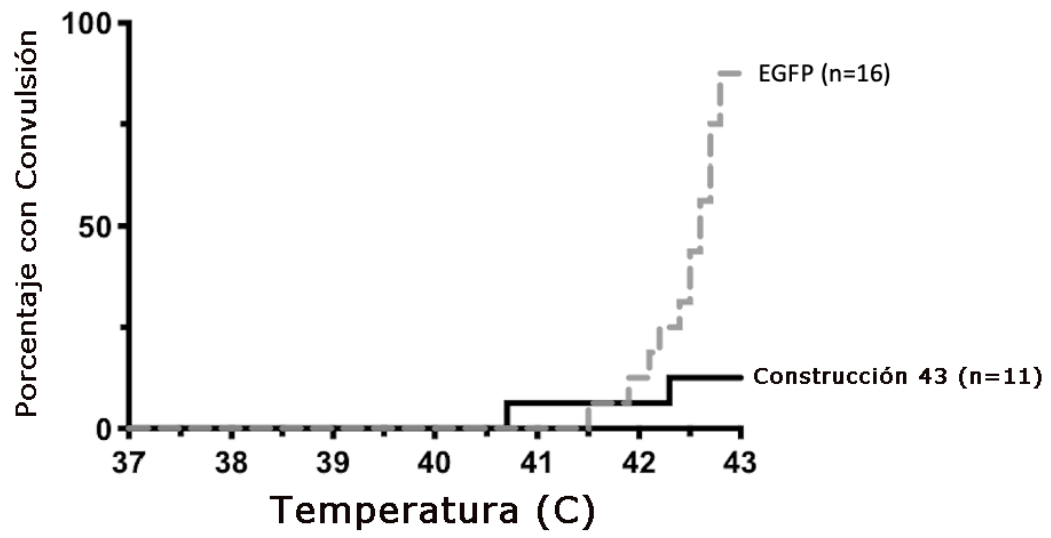


FIG. 6H

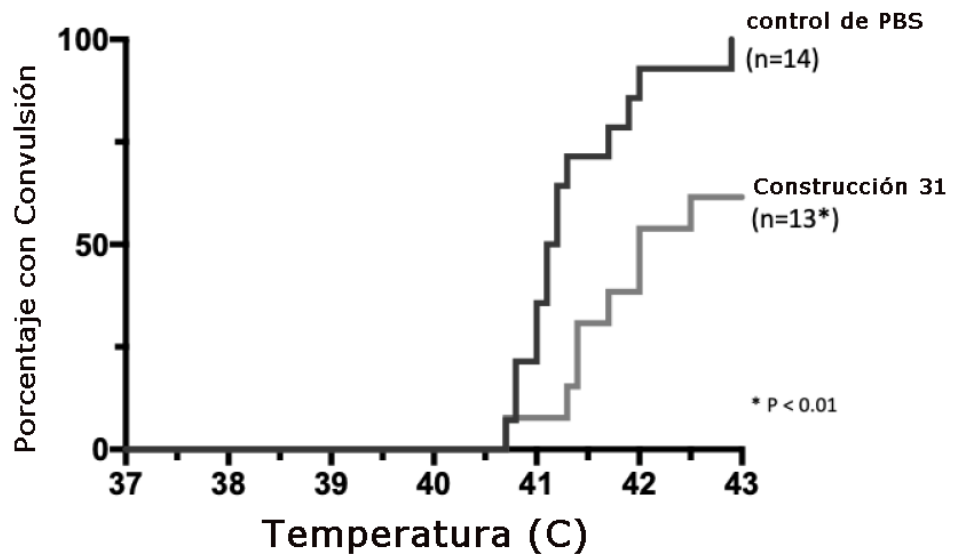


FIG. 7A

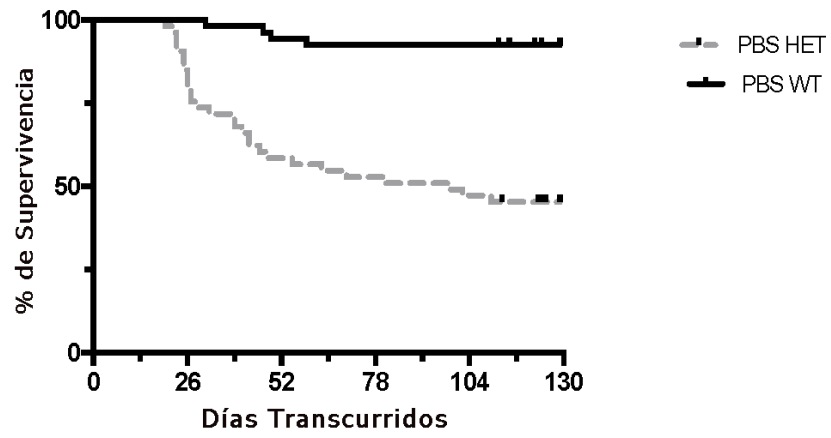


FIG. 7B

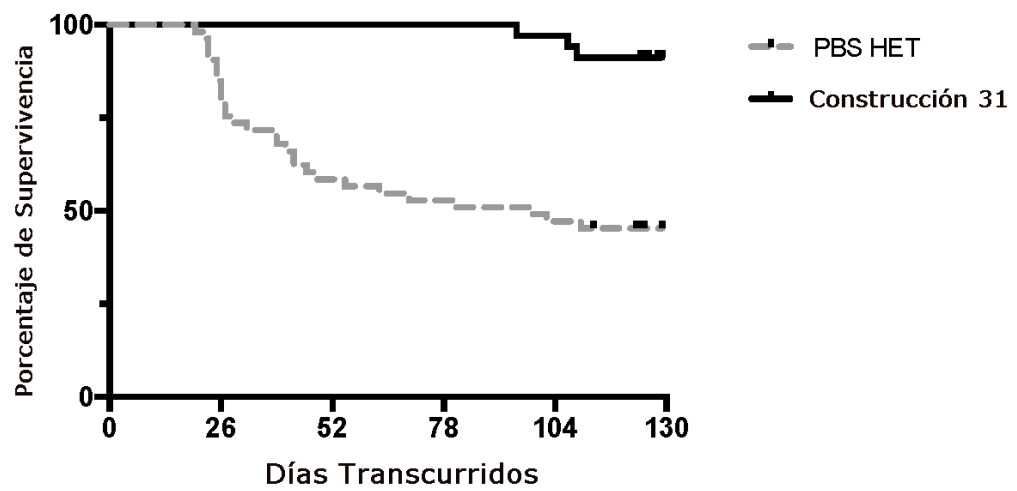


FIG. 7C

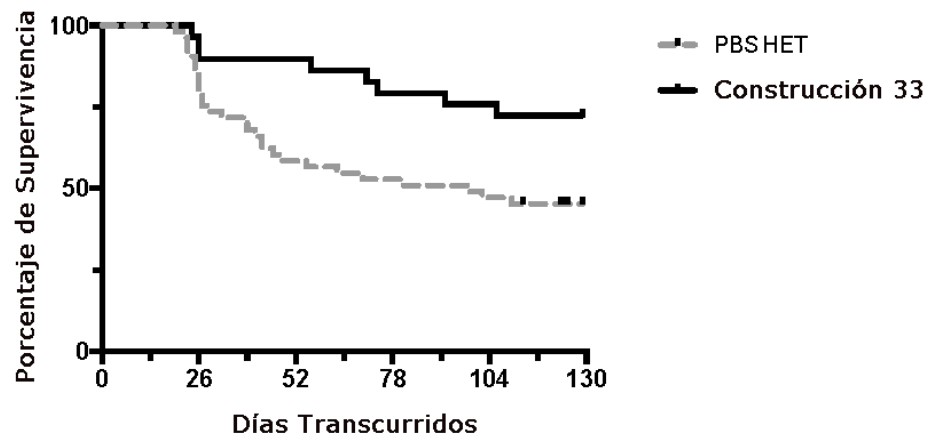


FIG. 7D

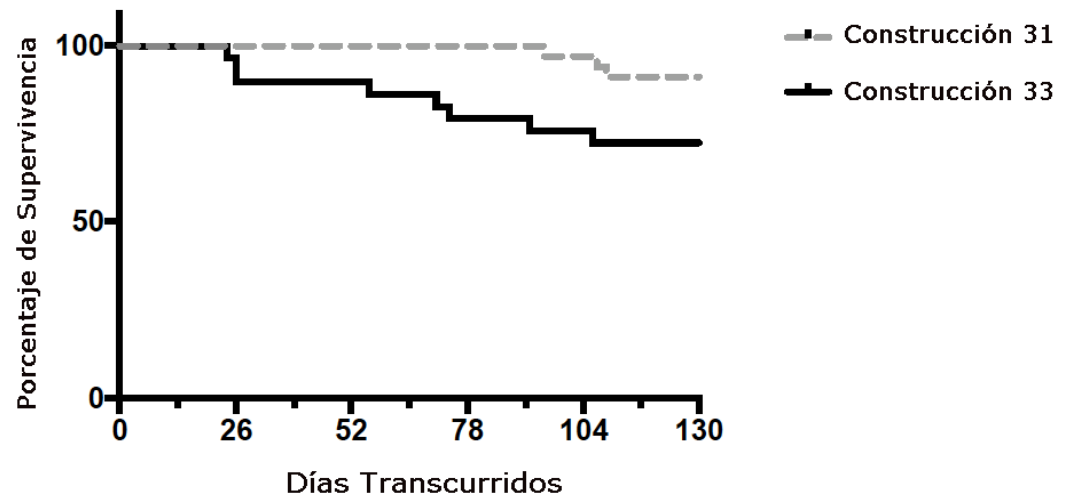


FIG. 7E

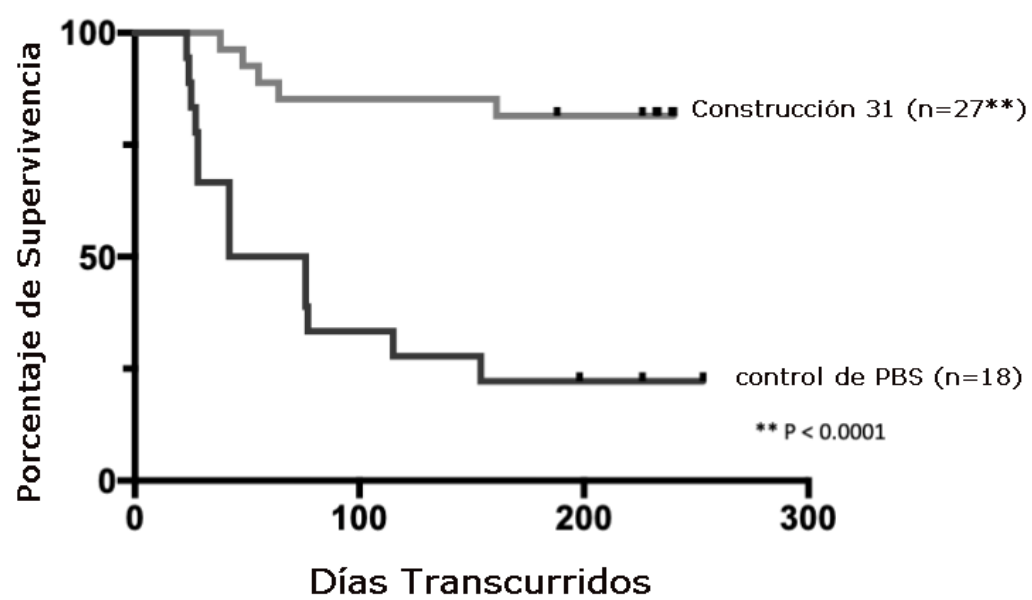
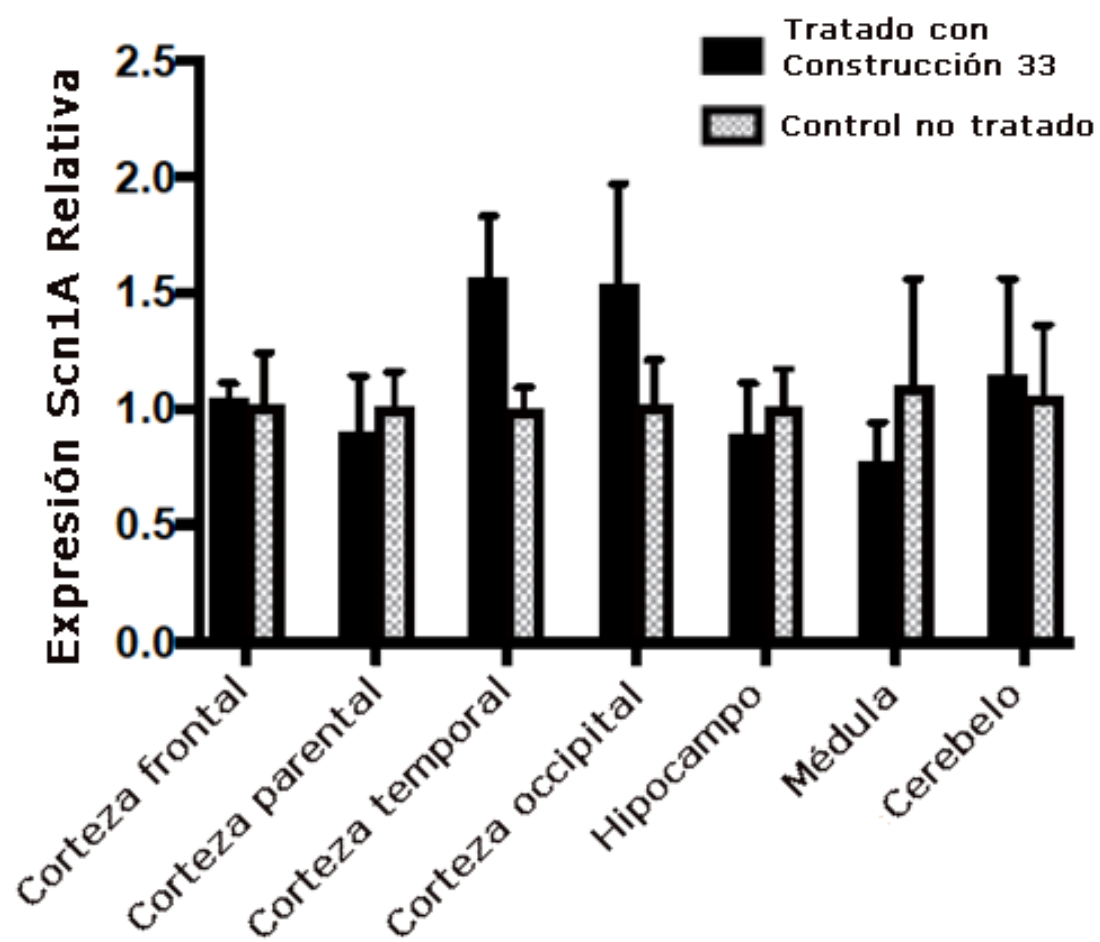
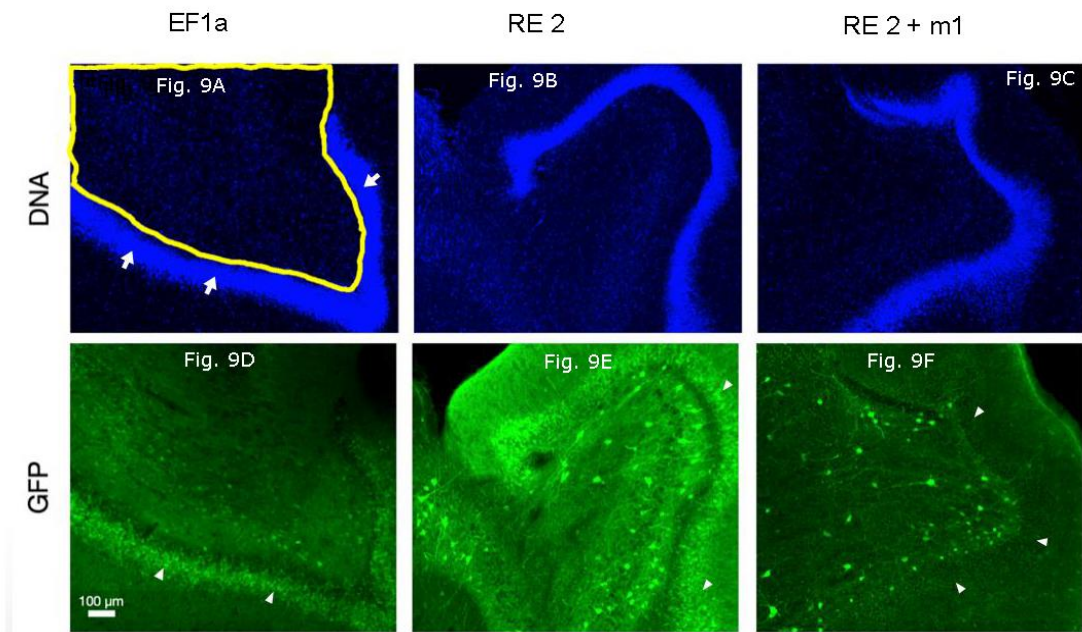
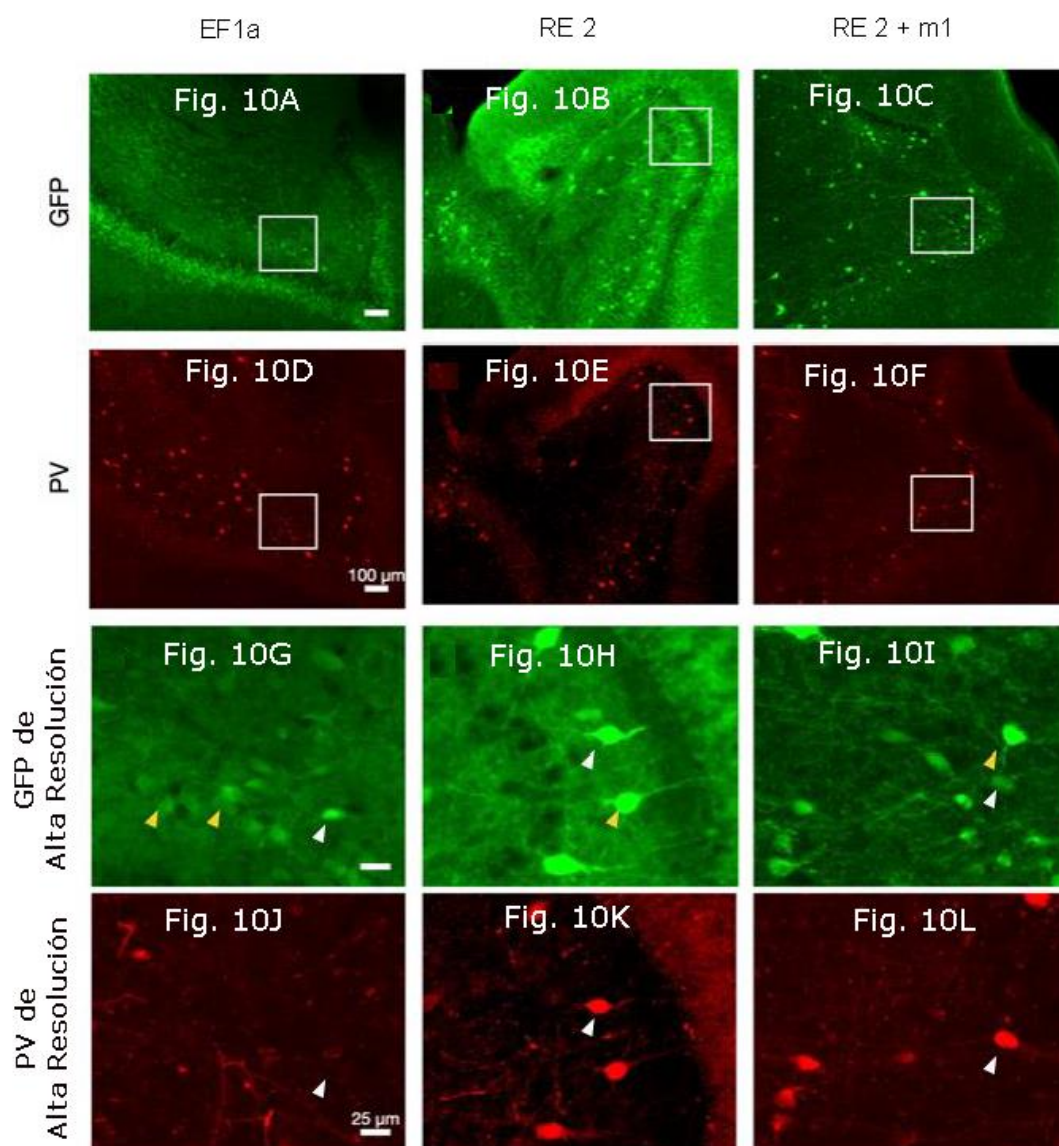


FIG. 8







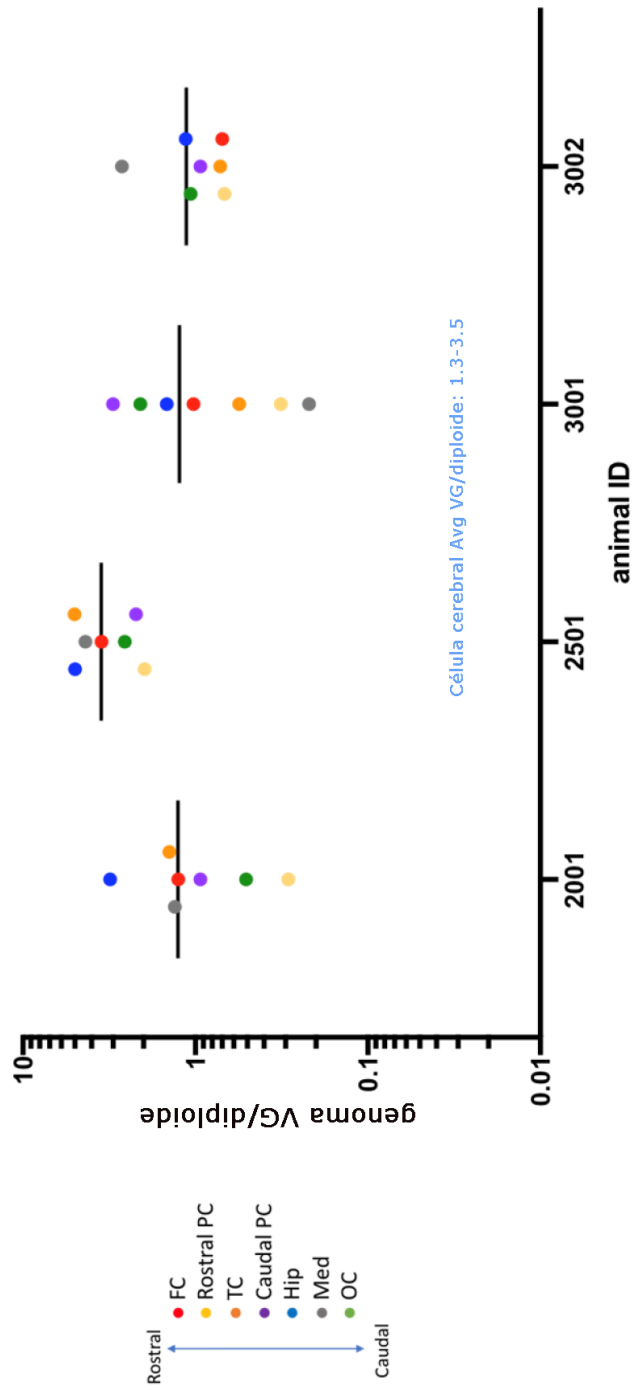


FIG. 11

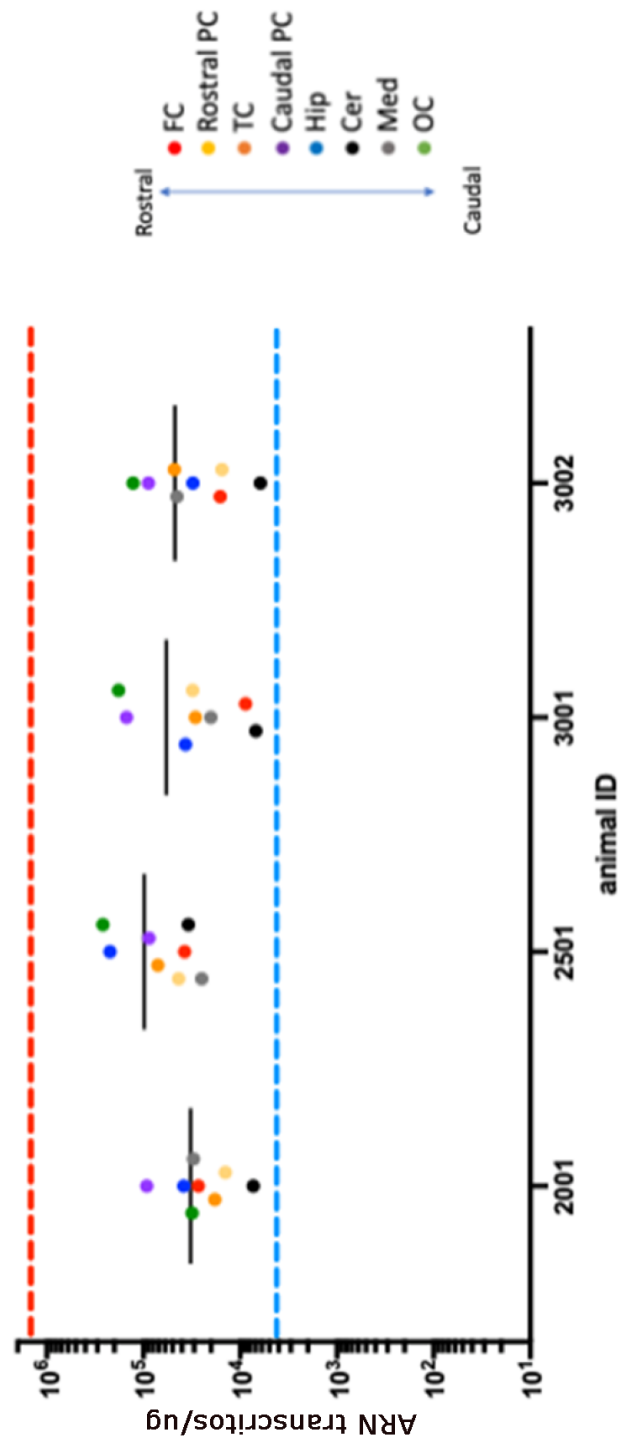


FIG. 12

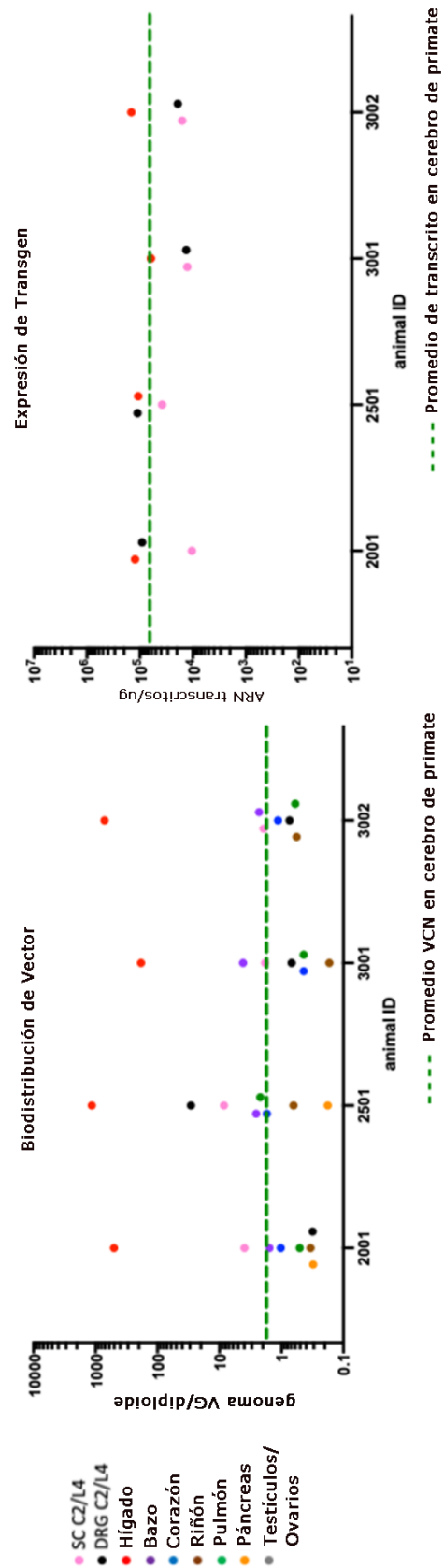


FIG. 13



SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO

NIT: 800.176.089-2

COMPROBANTE DE RECAUDO SISTEMA SIPI

Radicado: NC2021/0017544
Recibo: 24-49655
Fecha: 25/06/2024

CASTELLANOS & CO
NI: 8.001.746.411
Pago PSE No: 982975
CUS: 729197601

Patente PCT
COMPOSICIONES Y MÉTODOS PARA LA REGULACIÓN GÉNICA SELECTIVA

Detalle del pago

Id.	Rentístico	Concepto y Servicio	Cant.	Val. Unit.	Subtotal
1	50005-01-03	Modificaciones / Correcciones al registro Patente PCT (DESCUENTO INTERNET)	1	\$ 214,000	\$ 214,000
TOTAL					\$ 214,000