

P-2025/5731

SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO

DIRECCIÓN DE NUEVAS CREACIONES

E. S. D.

Re: Expediente No. **NC2022/0000016.**Solicitud de patente a nombre de **ARROWHEAD PHARMACEUTICALS, INC.**

Yo, CAROLINA DAZA MONTALVO identificada como aparece al pie de mi firma, domiciliada en la Carrera 11 No. 86-53, obrando como apoderada de la sociedad ARROWHEAD PHARMACEUTICALS, INC. domiciliada en Pasadena, California, Estados Unidos de América, solicitante de la patente de la referencia, en respuesta al oficio No. **5990** notificado electrónicamente el 29 de abril de 2025, relacionado con los requerimientos de fondo de la solicitud, atentamente me permito presentar la siguiente información:

1. Sobre la no aceptación de modificaciones al pliego reivindicatorio presentadas el 1 de abril de 2025

El examinador ha señalado que el capítulo reivindicatorio presentado el 1 de abril de 2025 no puede ser aceptado, al considerar que introduce materia que ampliaría el alcance de la solicitud originalmente presentada.

En particular, se indica que las reivindicaciones 13 a 21 se refieren a kits caracterizados por comprender una segunda y una tercera unidades de dosificación. No obstante, el examinador considera que la descripción original de la solicitud únicamente hace referencia de manera general a los kits, sin proporcionar soporte específico para las modalidades contempladas en dichas reivindicaciones.

Si bien el solicitante no comparte esta apreciación, ya que estima que la divulgación original proporciona soporte técnico suficiente para las modalidades incluidas en las reivindicaciones 13 a 21, y que estas se derivan de manera directa e inequívoca del contenido inicialmente presentado, con el único propósito de facilitar el avance del trámite de la solicitud, se presenta un nuevo capítulo reivindicatorio.

Este nuevo capítulo consta de catorce (14) reivindicaciones, reemplaza en su totalidad el documento presentado el 4 de enero de 2022 y no incluye reivindicaciones dirigidas a kits de partes. Por lo tanto, el solicitante respetuosamente solicita que se continúe el trámite de la solicitud estudiando el capítulo reivindicatorio anexo.

2. Modificaciones a las reivindicaciones:

Con fundamento en la facultad que confiere el artículo 34 de la Decisión 486 al solicitante para modificar la solicitud de patente en cualquier momento del trámite, presento junto a este memorial un nuevo capítulo reivindicatorio que consta de catorce (14) reivindicaciones, el cual reemplaza completamente el documento presentado el 4 de enero de 2022. Las características del nuevo capítulo se muestran a continuación:

- **Nuevas reivindicaciones 1 a 7:** Dirigidas a una unidad de dosificación caracterizada por contener una cantidad de agente activo en un rango específico.
- **Nueva reivindicación 8:** Dirigida a una unidad de dosificación caracterizada por una cantidad específica de agente activo.
- **Nueva reivindicación 9:** Dirigida a la unidad de dosificación de las reivindicaciones precedentes caracterizada por ser una solución acuosa adecuada para inyección subcutánea.
- **Nueva reivindicación 10:** Dirigida a una unidad de dosificación de las reivindicaciones precedentes caracterizada por comprender excipientes farmacéuticamente aceptables.
- **Nuevas reivindicaciones 11 y 12:** Dirigidas a una unidad de dosificación caracterizada por la concentración de agente activo y por el rango de concentración en agentes de amortiguación.
- **Nuevas reivindicaciones 13 y 14:** Dirigidas a una unidad de dosificación caracterizada por ser una sustancia farmacológica como sal o ácido libre.

Las nuevas reivindicaciones encuentran soporte en la descripción originalmente presentada como se indica a continuación:

- Reivindicaciones 1 y 8: La descripción de la sustancia farmacológica de iARN de AAT se encuentra en la Tabla 2 de la página 22 (párrafo [0024]), las estructuras de SEQ ID NO:2 y SEQ ID NO:6 en las páginas 5 y 6 (párrafo [0088]); la estructura (NAG37) en la Tabla B de la página 19 y 20 (párrafo [0067]), y las cantidades de sustancia farmacológica o agente activo en las páginas 24 y 25 (párrafo [0088]).

- Reivindicaciones 2, 3, 4, 5 y 6: Los rangos de cantidad de agente activo descritos se mencionan en la página 25 (párrafo [0088]).
- Reivindicaciones 7 y 8: La cantidad de agente activo se describen en la página 27 (párrafo [0097]).
- Reivindicación 9: La forma de dosificación acuosa para inyección subcutánea se divulga en la página 24 (párrafo [0085]).
- Reivindicación 10: La presencia de excipientes farmacéuticamente aceptables se divulga en las páginas 22 y 23 (párrafo [0078]).
- Reivindicaciones 11 y 10: El rango de concentración del agente de amortiguación se divulga en la página 5 (párrafo [0092]).
- Reivindicaciones 13 y 14: Las formas de sal o ácido libre de la sustancia farmacológica se describen en la página 19 Tabla B (párrafo [0067]).

Por lo tanto, las modificaciones aquí presentadas no amplían de ninguna manera el objeto de la presente solicitud, y se realizan con el fin de definir la materia reclamada de forma clara y superar las objeciones planteadas por el examinador en su concepto técnico.

3. Pago de tasas

Considerando que el presente memorial se presenta junto con modificaciones a las reivindicaciones, se adjunta recibo de pago por concepto de tasa de modificación a la solicitud, según lo establecido en la **Resolución 59669 de 2020**.

Ahora, en relación con el número de reivindicaciones, atentamente me permito resaltar que junto a la presente respuesta no se realiza el pago de la tasa por concepto de reivindicaciones adicionales, toda vez que el nuevo capítulo comprende un número de cláusulas menor que el presentado y estudiado anteriormente por su Despacho.

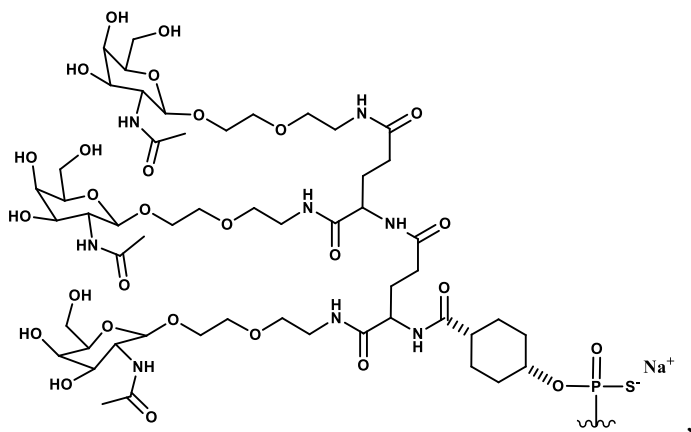
4. Materia no patentable

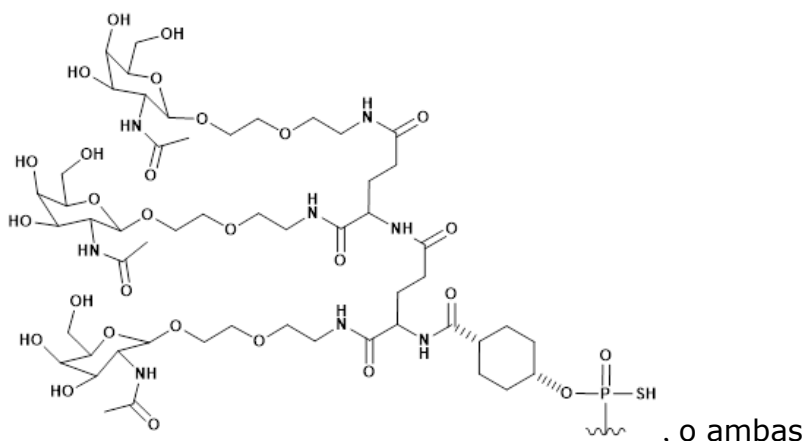
4.1 Excepciones de patentabilidad

El examinador señala que el objeto de las antiguas reivindicaciones 1 a 21 no sería patentable por cuanto se refieren a un método de tratamiento para la deficiencia de alfa-1 antitripsina (AATD) en un sujeto humano, mediante la administración de una composición farmacéutica que comprende iARN de AAT, lo cual corresponde a materia

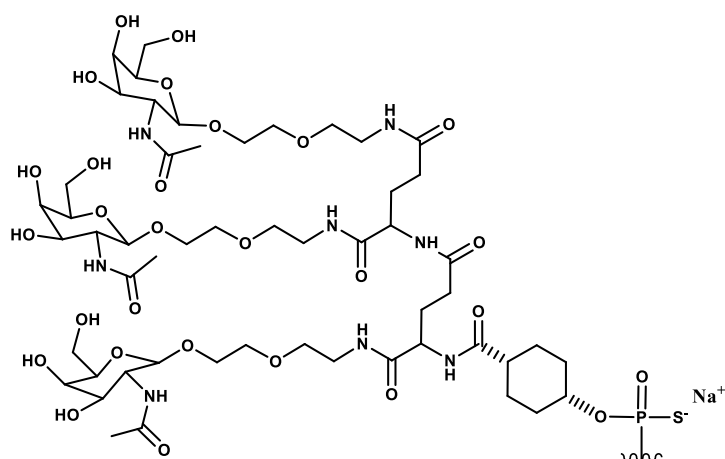
Al respecto, el solicitante desea manifestar que, con el único fin de avanzar en el trámite de la solicitud, se eliminaron sin perjuicio las reivindicaciones 1 a 23, previamente presentadas, lo que hace que las objeciones pueden darse por superadas.

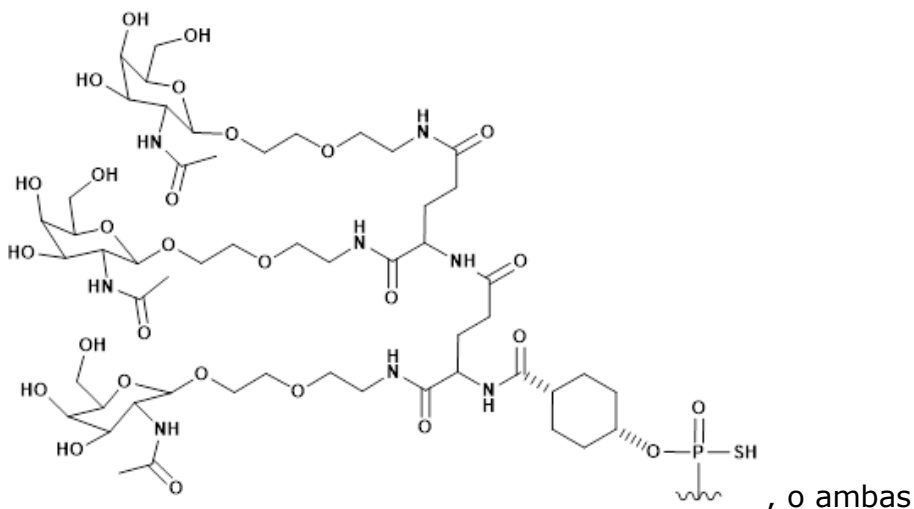
Así, la nueva reivindicación 1 independiente se refiere a unidad de dosificación que comprende aproximadamente de 5 mg a aproximadamente 300 mg de una sustancia farmacológica de ARNi de AAT, en la que la sustancia farmacológica de ARNi de AAT comprende una cadena codificante que comprende la estructura de (NAG37)s(invAb)sagcguuuuGfGfCfauguuuuacac(invAb) (SEQ ID NO:6) y una cadena no codificante que comprende la estructura de usGfsuUfaAfacaugCfcUfaAfaCfgCfsu (SEQ ID NO:2), en el que las cadenas codificante y no codificante se hibridan para formar un dúplex, en donde a, c, g y u representan 2'-O-metil adenosina, 2'-O-metil citidina, 2'-O-metil guanosina y 2'-O-metil uridina, respectivamente; Af, Cf, Gf y Uf representan 2'-fluoroadenosina, 2'-fluorocitidina, 2'-fluoroguanosina y 2'-fluorouridina, respectivamente; s representa un enlace fosforotioato; (invAb) representa un residuo de desoxirribosa abásica invertida; y (NAG37)s representa la estructura de





De igual manera, la nueva reivindicación 8 independiente describe una unidad de dosificación que comprende aproximadamente 200 mg de una sustancia farmacológica de ARNi de AAT, en la que la sustancia farmacológica de ARNi de AAT comprende una cadena codificante que comprende la estructura de (NAG37)s(invAb)sagcguuuaGfGfCfauguuuuacac(invAb) (SEQ ID NO:6) y una cadena no codificante que comprende la estructura de usGfsuUfaAfacaugCfcUfaAfaCfGcfsu (SEQ ID NO:2), en donde las cadenas codificante y no codificante están hibridadas para formar un dúplex, en donde a, c, g y u representan 2'-O-metil adenosina, 2'-O-metil citidina, 2'-O-metil guanosina y 2'-O-metil uridina, respectivamente; Af, Cf, Gf y Uf representan 2'-fluoroadenosina, 2'-fluorocitidina, 2'-fluoroguanosina y 2'-fluorouridina, respectivamente; s representa un enlace fosforotioato; (invAb) representa un residuo de desoxirribosa abásica invertida; y (NAG37)s representa la estructura de





Adicionalmente, las reivindicaciones 2, 3, 4, 5, 6 y 7 son dependientes de la reivindicación independiente 1 y reclaman composiciones con una cantidad específica de agente activo. Así mismo, las reivindicaciones 9, 10, 11, 12, 13 y 14 son dependientes de las reivindicaciones independientes 1 y 8. Como se mencionó previamente, la reivindicación 9 reclama solución acuosa adecuada para inyección subcutánea, la reivindicación 10 se refiere a modalidades con excipientes farmacéuticamente aceptables, las reivindicaciones 11 y 12 reclaman modalidades con una concentración específica de agente activo y de agentes de amortiguación; finalmente, las reivindicaciones 13 y 14 reclaman modalidades con formas de sal o ácido libre de la sustancia farmacológica. Por lo tanto, la materia reclamada no se refiere a métodos de tratamiento, superando la objeción al respecto.

3.3 Reivindicaciones relativas a uso

De otro lado, el examinador señala que el objeto de las antiguas reivindicaciones 22 y 23 tampoco serían patentables por cuanto se refieren al uso de una sustancia farmacológica de iARN de AAT en tratamiento de la deficiencia de alfa-1 antitripsina (AATD) en un sujeto humano.

Al respecto, me permito manifestar que las reivindicaciones objetadas fueron eliminadas, superando así las objeciones del examinador.

5. Conclusión

Con las modificaciones introducidas y los argumentos presentados puede concluirse que:

- i) El nuevo pliego reivindicatorio se ajusta a las disposiciones del Artículo 34 de la Decisión 486/00;
- ii) La presente invención no se relaciona con materia exceptuada de patentabilidad de acuerdo con lo establecido en el Artículo 20(d) de la Decisión 486; y
- iii) La presente invención se relaciona con materia susceptible de patentabilidad, cumpliendo así con los requerimientos del Artículo 14 de la Decisión 486;

Por tanto, atentamente me permito solicitar a ese Despacho otorgar el privilegio de patente solicitado a la solicitud en estudio, toda vez que cumple a cabalidad con los requerimientos de la Decisión 486 de 2000.

Asimismo, respetuosamente solicito a ese Despacho pronunciarse en relación con todos los argumentos presentados en este memorial dando estricta aplicación al principio del debido proceso consagrado en el artículo 29 de la Constitución Nacional.

6. Anexos

- Nuevo capítulo reivindicatorio conformado por catorce (14) reivindicaciones.
- Recibo de pago por concepto de modificaciones voluntarias.

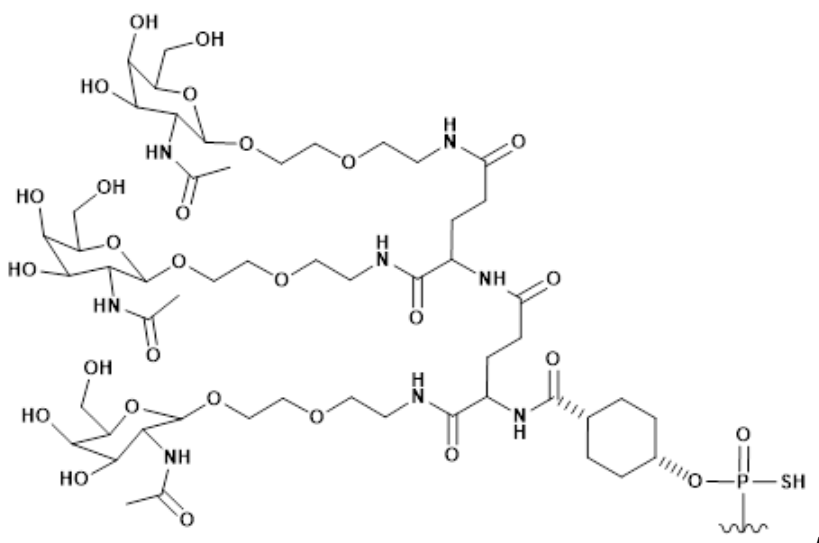
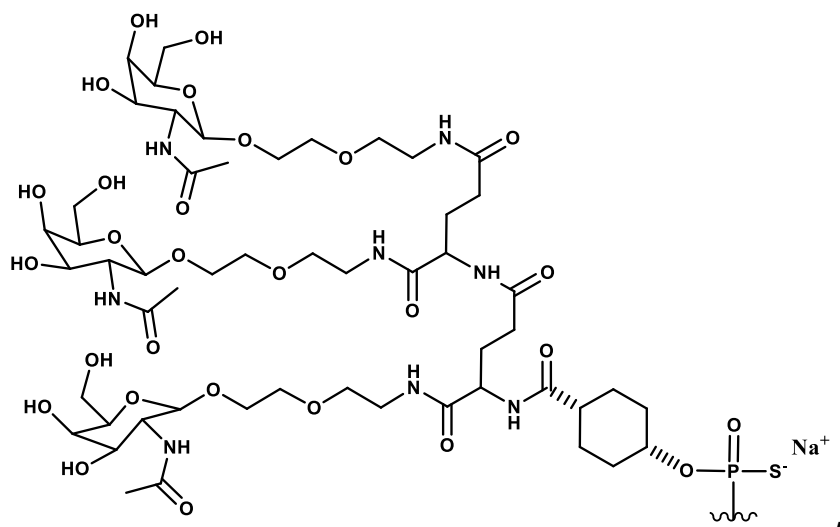
Señora Directora,


CAROLINA DAZA MONTALVO
C.C. 66.783.790 de Palmira Valle
TP-141563 CSJ
notificaciones@clarkemodet.com.co

REIVINDICACIONES MODIFICADAS

1. Una unidad de dosificación que comprende aproximadamente de 5 mg a aproximadamente 300 mg de una sustancia farmacológica de iARN de AAT, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT comprende una cadena codificante que comprende la estructura de (NAG37)s(invAb)sagcguuuaGfGfCfauguuuuacac(invAb) (SEQ ID NO:6) y una cadena no codificante que comprende la estructura de usGfsuUfaAfacaugCfcUfaAfaCfgCfsu (SEQ ID NO:2), en el que las cadenas codificante y no codificante se hibridan para formar un dúplex,

en donde a, c, g y u representan 2'-O-metil adenosina, 2'-O-metil citidina, 2'-O-metil guanosina y 2'-O-metil uridina, respectivamente; Af, Cf, Gf y Uf representan 2'-fluoroadenosina, 2'-fluorocitidina, 2'-fluoroguanosina y 2'-fluorouridina, respectivamente; s representa un enlace fosforotioato; (invAb) representa un residuo de desoxirribosa abásica invertida; y (NAG37)s representa la estructura de



o ambas.

2. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende de aproximadamente 25 mg a aproximadamente 300 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.

3. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende de aproximadamente 25 mg a aproximadamente 200 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.

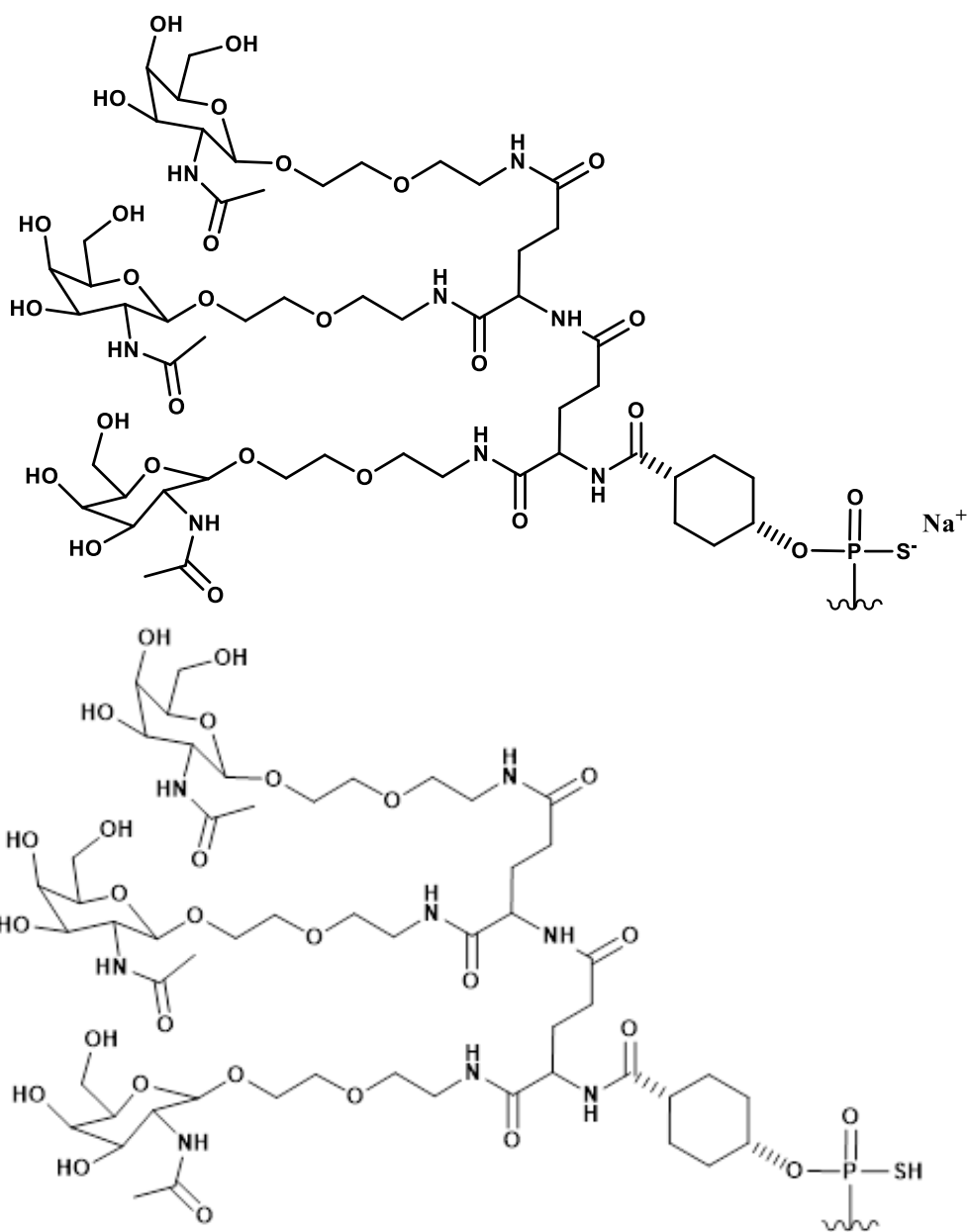
4. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende aproximadamente 180 mg a aproximadamente 240 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.

5. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende aproximadamente 200 mg a aproximadamente 220 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.

6. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende aproximadamente 100 mg a aproximadamente 200 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.

7. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende aproximadamente 200 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.

8. Una unidad de dosificación que comprende aproximadamente 200 mg de una sustancia farmacológica de iARN de AAT, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT comprende una cadena codificante que comprende la estructura de (NAG37)s(invAb)sagcguuuuGfGfCfauguuuuacac(invAb) (SEQ ID NO:6) y una cadena no codificante que comprende la estructura de usGfsuUfaAfacaugCfcUfaAfaCfGcfsu (SEQ ID NO:2), en donde las cadenas codificante y no codificante están hibridadas para formar un dúplex, en donde a, c, g y u representan 2'-O-metil adenosina, 2'-O-metil citidina, 2'-O-metil guanosina y 2'-O-metil uridina, respectivamente; Af, Cf, Gf y Uf representan 2'-fluoroadenosina, 2'-fluorocitidina, 2'-fluoroguanosina y 2'-fluorouridina, respectivamente; s representa un enlace fosforotioato; (invAb) representa un residuo de desoxirribosa abásica invertida; y (NAG37)s representa la estructura de



o ambas.

9. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1-8, en donde la unidad de dosificación es una solución acuosa adecuada para inyección subcutánea.

10. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1-9, que comprende además uno o más excipientes farmacéuticamente aceptables.

11. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1-10, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT se formula a 230 mg/mL en un agente de amortiguación de fosfato de sodio acuoso de fosfato de sodio monobásico 0,5 mM y fosfato de sodio dibásico 0,5 mM.

12. La unidad de dosificación de una cualquiera de las reivindicaciones 1-10, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT se formula a 200 mg/mL en un agente de amortiguación de fosfato de sodio acuoso de fosfato de sodio monobásico 0,5 mM y fosfato de sodio dibásico 0,5 mM más excipientes farmacéuticamente aceptables.

13. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1-12, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT se proporciona como una sal, una sal mixta o un ácido libre.

14. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1-13, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT se proporciona como una forma de sal de sodio.



Superintendencia de
Industria y Comercio

SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO

NIT: 800.176.089-2

COMPROBANTE DE RECAUDO SISTEMA SIPI

Radicado: NC2022/0000016

Recibo: 25-168909

Fecha: 25/07/2025

CAROLINA MERCEDES DAZA MONTALVO

CC: 66.783.790

Pago PSE No: 1140474

CUS: 1652678438

Patente PCT

METODOS PARA EL TRATAMIENTO DE LA DEFICIENCIA DE ALFA-1 ANTITRIPSINA (AATD)

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	\$ 225,000	\$ 225,000
TOTAL					\$ 225,000