

REPÚBLICA DE COLOMBIA
SUPERINTENDENCIA DE INDUSTRIA Y COMERCIO

Resolución N° 59085

Ref. Expediente N° NC2021/0017544

Por la cual se otorga una Patente de Invención

LA SUPERINTENDENTE DE INDUSTRIA Y COMERCIO

en ejercicio de sus facultades legales, en especial de las conferidas en el numeral 24 del artículo 3° del Decreto 4886 de 2011, y

CONSIDERANDO:

Que mediante escrito radicado en esta Superintendencia el 21 de diciembre de 2021 con el N° NC2021/0017544, por ENCODED THERAPEUTICS, INC., entró a fase nacional la solicitud de patente de invención titulada “COMPOSICIONES Y MÉTODOS PARA LA REGULACIÓN GÉNICA SELECTIVA”, que corresponde a la solicitud internacional PCT/US2020/035431 del 29 de mayo de 2020.

Que la solicitud fue publicada en la Gaceta de la Propiedad Industrial N° 950 el 17 de enero de 2022, sin que se hubieran presentado oposiciones por parte de terceros.

Que realizado el examen de fondo mediante Oficio No. 16525 de 10 de septiembre de 2024, 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.

Que el solicitante mediante escrito radicado bajo el N° NC2021/0017544 el 13 de noviembre de 2024 respondió oportunamente el requerimiento formulado y presentó las reivindicaciones 1 a 8 que reemplazan las originalmente presentadas. Se acepta este último capítulo reivindicatorio presentado, comoquiera que se ajusta a las prescripciones contenidas en el artículo 34 de la Decisión 486.

Que respecto a las objeciones realizadas mediante el Oficio No. 16525 de 10 de septiembre de 2024, las reivindicaciones 1 a 8 incluidas en el radicado N° NC2021/0017544 el 13 de noviembre de 2024 superan las objeciones por Artículo 30 de la Decisión 486 por falta sustento porque se ha caracterizado el casete de expresión porque comprende un elemento regulador selectivo de neuronas de parvalbúmina (PV) unido operativamente a un polinucleótido que codifica un factor de transcripción diseñado que aumenta la expresión de un gen SCN1A en una célula, en donde el factor de transcripción diseñado comprende una secuencia de aminoácidos de SEQ ID NO: 127 y el elemento regulador selectivo de neuronas PV comprende la SEQ ID NO: 2. De tal forma, que la materia ahora reclamada está completamente sustentada en la descripción. Así mismo, se superan las objeciones por Artículo 28 de la Decisión 486, dado que, la descripción es clara y suficiente y permitiría llegar a la materia reclamada en la solicitud.

Ref. Expediente N° NC2021/0017544

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.”*

Que en el presente caso las reivindicaciones 1 a 8 incluidas en el radicado bajo el N° NC2021/0017544 el 13 de noviembre de 2024, cumplen los requisitos previstos anteriormente, toda vez que se refieren a un casete de expresión que comprende un elemento regulador selectivo de neuronas de parvalbúmina (PV) unido operativamente a un polinucleótido que codifica un factor de transcripción que difiere de la información del estado de la técnica más cercano US20190024118 en que el factor de transcripción comprende una secuencia de aminoácidos de SEQ ID NO: 127 y el elemento regulador selectivo de neuronas PV comprende la SEQ ID NO: 2.

Adicionalmente, estas diferencias no se encuentran sugeridas en el estado de la técnica y, como consecuencia de ello, se evidencia que el constructo que comprende la secuencia de ácido nucleico identificada como SEQ ID NO: 71, la cual codifica el factor de transcripción correspondiente a SEQ ID NO: 127 (construcciones 33 y 34), tiene como consecuencia directa de estas características, que produce efectos técnicos relevantes. En particular, la administración de las construcciones 33 y 34 en ratones SCN1A^{tm1Kea} permitió que el 93% y el 83% de los animales tratados, respectivamente, se mantuvieran libres de convulsiones en un ensayo de convulsiones hipertérmicas de tipo tónico clónico inducidas. En contraste, el grupo control tratado únicamente con el esqueleto del vector, que no contiene la secuencia codificante del factor de transcripción SEQ ID NO: 127 y utiliza EGFP como marcador, mostró un 44% de animales libres de convulsiones (Ejemplo 6, Tablas 15 y 16, Figuras 6A a 6E).

Asimismo, los ratones tratados con la construcción 33 presentaron una tasa de supervivencia del 76% en comparación con el grupo control tratado con buffer fosfato (PBS), lo que demuestra que el efecto terapéutico observado se relaciona directamente con la actividad del activador transcripcional sobre el gen SCN1A (Ejemplo 7, Tabla 17, Figuras 7A a 7D). Adicionalmente, la construcción 33 indujo un aumento de la expresión relativa de SCN1A en la corteza frontal, temporal, occipital y en el cerebelo de monos *Macaca fascicularis* de entre 2 y 3 años de edad tratados mediante inyección intraparenquimatosa, en comparación con controles no tratados con el vector (PBS) (Ejemplo 8, Figura 8). Por tanto, el casete de expresión de la solicitud es promisorio para tratar enfermedades relacionadas con deficiencia de la expresión de SCN1A como el síndrome de Dravet.

En consecuencia, las reivindicaciones 1 a 8 del escrito radicado bajo número N° NC2021/0017544 el 13 de noviembre de 2024 cumplen los requisitos de novedad, nivel inventivo y aplicación industrial establecidos en la normatividad citada en precedencia y esta Oficina encuentra procedente conceder para las mismas la patente solicitada.

Que el solicitante en el escrito radicado bajo el N° NC2021/0017544 el 13 de noviembre de 2024, solicitó la modificación del título a: “POLINUCLEÓTIDO QUE CODIFICA PARA UN FACTOR DE TRANSCRIPCIÓN ESPECÍFICO PARA SCN1A Y EL VECTOR VIRAL AAV QUE LO COMPRENDE”, la cual no se acepta porque presenta errores de claridad porque

Ref. Expediente N° NC2021/0017544

Menciona “el vector viral” pero anteriormente no está descrito ningún AAV. Teniendo en cuenta lo anterior, el título quedará de la siguiente manera: “CASETE DE EXPRESIÓN QUE COMPRENDE UN ELEMENTO REGULADOR SELECTIVO DE NEURONAS DE PARVALBÚMINA UNIDO OPERATIVAMENTE A UN POLINUCLEÓTIDO QUE CODIFICA UN FACTOR DE TRANSCRIPCIÓN DEL GEN SCN1A, Y VIRUS ADENOASOCIADO (AAV) QUE LO COMPRENDE”.

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

RESUELVE

ARTÍCULO 1: 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:

“CASETE DE EXPRESIÓN QUE COMPRENDE UN ELEMENTO REGULADOR SELECTIVO DE NEURONAS DE PARVALBÚMINA UNIDO OPERATIVAMENTE A UN POLINUCLEÓTIDO QUE CODIFICA UN FACTOR DE TRANSCRIPCIÓN DEL GEN SCN1A, Y VIRUS ADENOASOCIADO (AAV) QUE LO COMPRENDE”

Clasificación IPC: C12N 15/79, A61P 25/08, A61P 25/16, A61P 25/28.

Reivindicaciones: 1 a 8 incluidas en el radicado bajo el No NC2021/0017544 el 13 de noviembre de 2024, de acuerdo con el Anexo No. 1.

Titular: ENCODED THERAPEUTICS, INC.

Dirección: 341 OYSTER POINT BOULEVARD SOUTH SAN FRANCISCO, CALIFORNIA 94080, ESTADOS UNIDOS DE AMÉRICA.

Inventores: Stephanie TAGLIATELA, Kartik RAMAMOORTHY, Andrew YOUNG, DAVID OBERKOFER y Anne TANENHAUS.

Prioridades N°: 29/05/2019, US (ESTADOS UNIDOS DE AMÉRICA), 62/854,238
5/06/2019, US (ESTADOS UNIDOS DE AMÉRICA), 62/857,727
10/04/2020, US (ESTADOS UNIDOS DE AMÉRICA), 63/008,569

Solicitud internacional N°: PCT/US2020/035431

Fecha: 29 de mayo de 2020.

Vigente desde: 29 de mayo de 2020

Hasta: 29 de mayo de 2040.

ARTÍCULO 2: 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

Resolución N° 59085

Ref. Expediente N° NC2021/0017544

cancelar la tasa anual de mantenimiento, conforme lo dispone el artículo 80 de la referida norma comunitaria.

ARTÍCULO 3: Notificar el contenido de la presente resolución a ENCODED THERAPEUTICS, INC. advirtiéndole que contra ella procede el recurso de reposición, ante la 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 15 de agosto de 2025

LA SUPERINTENDENTE DE INDUSTRIA Y COMERCIO,



Firmado digitalmente
por: CIELO ELAINNE
RUSINQUE URREGO
Fecha: 2025.08.15
12:07:30 COT
Razón: Validez jurídica.
Ubicación: Bogotá,
Colombia.

Ref. Expediente N° NC2021/0017544

ANEXO No. 1

REIVINDICACIONES CONCEDIDAS

1. Un casete de expresión que comprende un elemento regulador selectivo de neuronas de parvalbúmina (PV) unido operativamente a un polinucleótido que codifica un factor de transcripción diseñado que aumenta la expresión de un gen SCN1A en una célula, en donde el factor de transcripción diseñado comprende una secuencia de aminoácidos de SEQ ID NO: 127 y el elemento regulador selectivo de neuronas PV comprende la SEQ ID NO: 2.

2. El casete de expresión de la reivindicación 1, que comprende además un sitio de unión a microARN que inhibe la expresión del factor de transcripción diseñado en neuronas de excitación, y en donde el sitio de unión a microARN comprende la SEQ ID NO: 7.

3. El casete de expresión de la reivindicación 2, en donde el casete de expresión comprende una secuencia de ácido nucleico de la SEQ ID NO: 71.

4. Un vector de virus adenoasociado (AAV) que comprende el casete de expresión de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3.

5. El vector AAV de la reivindicación 4, en donde el vector AAV comprende un AAV9.

6. El vector AAV de la reivindicación 5, en donde el casete de expresión comprende además una secuencia de repetición terminal invertida (ITR) de 5' AAV y una secuencia ITR de 3' AAV, cada una derivada de un serotipo 2 de AAV.

7. Una composición que comprende el casete de expresión de cualquiera de las reivindicaciones 1-3 o el vector AAV de cualquiera de las reivindicaciones 4-6 y un portador farmacéuticamente aceptable.

8. Una línea celular que comprende el casete de expresión de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, en donde la línea celular es HEK-293, célula A549, o HeLa.