

Una subvención de educación médica independiente respaldada en colaboración por la Sociedad Americana de Terapia Génica y Celular y Pfizer.

Terapia **g**énica

para enfermedades raras

Módulo 5

Propiedad intelectual y emprendimiento

Unidad 1

Propiedad intelectual
en el área de la terapia génica



Pontificia Universidad
JAVERIANA
Bogotá



American Society
of Gene + Cell Therapy



Instituto de Estudios
Avanzados del Metabolismo

Propiedad intelectual en el área de la terapia génica



Docente: Joanna Applequist Ph. D.

Socia y agente de patentes europeas en AWA. Joanna participa en la redacción y tramitación de solicitudes de patentes, evaluaciones de patentabilidad, estrategias de PI, análisis de libertad para operar (FTO) y diligencia debida en materia de PI. Es licenciada en ingeniería biológica y doctora en biología celular y molecular por el Instituto Karolinska.

Patentes

Las patentes son derechos nacionales y limitados en el tiempo de prohibición, que otorgan a los inventores el derecho de impedir que otros utilicen sus invenciones. Una patente puede ser válida durante 20 años, pero su alcance varía entre jurisdicciones. La patentabilidad se basa en la novedad, el paso inventivo y la aplicabilidad industrial. La novedad implica que la invención no debe haber sido divulgada públicamente antes de la presentación de la solicitud de patente. El paso inventivo requiere que la invención no sea obvia para una persona experta en el campo, y la aplicabilidad industrial asegura que la invención sea útil en un entorno industrial.

Las patentes pueden otorgarse para invenciones en todos los campos de la tecnología, incluyendo terapias génicas y celulares. La descripción y reclamaciones de patentes son esenciales para definir y proteger la invención.



Redacción de reclamaciones de patentes: hay gran importancia de la redacción precisa de las reclamaciones de patentes, que definen lo que la patente prohíbe a otros hacer. La inclusión de características de estructura y funcionales afecta el alcance de protección de la patente.

Presentación de solicitudes de patentes de calidad: la calidad de la primera solicitud de patente es crucial ya que una mala presentación dificulta mejoras posteriores. La presentación inicia un cronograma que debe seguirse y la prioridad permite extender la protección a otros países.

Importancia de los datos en las solicitudes de patentes:

La divulgación de la invención a través de datos respalda la patentabilidad y permite a otros desarrollar y construir sobre la innovación, estableciendo lo que se conoce como el "pacto de la patente".

Los datos desempeñan un papel crucial en la solicitud de patentes en el campo de la biotecnología. En particular, destaca que los datos deben respaldar la invención reclamada de manera detallada y específica. La calidad y la cantidad de datos presentados son fundamentales para determinar el alcance de protección de la patente.

Un aspecto clave es la necesidad de que los datos sean lo suficientemente detallados como para permitir que una persona experta en la materia pueda llevar a cabo la invención sin dificultades indebidas. En este contexto, en la clase se presenta un escenario hipotético: si los datos muestran que una tecnología funciona en situaciones muy específicas, es probable que la patente tenga un alcance de protección estrecho. Por otro lado, si hay múltiples experimentos que demuestran la eficacia de la tecnología en diversas configuraciones y contextos, el alcance de protección puede ser más amplio.



Estrategias de presentación y plausibilidad:

Hay una estrategia común de presentar primero una solicitud de patente en un país de elección y luego utilizar esta solicitud para reclamar prioridad en otros lugares. Este enfoque, conocido como la **presentación PCT**, permite ganar tiempo y posponer costos. Sin embargo, destaca el equilibrio delicado entre la presentación temprana con pocos datos y la presentación tardía con datos más extensos. Esta decisión implica considerar ser el primero en presentar versus recopilar más datos para obtener un alcance de protección más amplio.

La plausibilidad, un aspecto crucial en las solicitudes de patentes, se aborda en relación con los datos presentados. Ahora, la pregunta clave es si la divulgación en la solicitud de patente hace plausible para un experto en la materia que la invención funcionará como se describe. La presencia de datos clínicos sólidos, por ejemplo, fortalece la plausibilidad. Sin embargo, si la información se basa únicamente en datos *in vitro*, la plausibilidad puede ser más cuestionada. La elección de modelos y datos bien caracterizados puede reforzar el caso de plausibilidad.

Podemos concluir la importancia estratégica que hay en los datos en la solicitud de patentes, desde respaldar la invención hasta influir en el alcance de protección y la plausibilidad.

Desafíos en ciencias de la vida

En el ámbito de ciencias de la vida, se discuten consideraciones éticas y morales que afectan la patentabilidad. Se señala que en Europa los métodos de tratamiento en el cuerpo del paciente no son patentables, a diferencia de Estados Unidos, donde sí lo son.



Terapia celular y génica - Desafíos y oportunidades

Las terapias celulares y génicas representan la vanguardia de la medicina moderna. Estas terapias implican la transferencia de células vivas al paciente para tratar o curar enfermedades, así como la modificación genética para abordar condiciones específicas.

La terapia celular abarca diversas áreas, como oncología, inmunología, neurología y reumatología. Los enfoques terapéuticos incluyen el uso de células T con receptores de antígenos quiméricos (CAR-T) en inmunoterapia para combatir el cáncer, así como la terapia génica, que implica la modificación de genes para tratar enfermedades. La terapia génica podemos dividirla en dos tipos principales: *in vivo* y *ex vivo*. La primera implica la administración directa de terapia al paciente, mientras que la segunda implica la modificación de células fuera del cuerpo antes de reintroducirlas.

La terapia génica comenzó hace aproximadamente 80 años, aun así, su progreso se ha visto pausado debido a problemas éticos y de seguridad en el pasado, pero el campo se ha recuperado con numerosos productos aprobados y ensayos clínicos en curso.

Actualmente, en Europa los genes son patentables incluso si son idénticos a los encontrados en el cuerpo, mientras que en Estados Unidos, un producto idéntico a uno natural no es patentable. Esto resalta la importancia de adaptar estrategias de patentes a las leyes específicas de cada jurisdicción.

Esto nos lleva a pensar en la evolución que ha habido en la presentación de patentes relacionadas con vectores utilizados en la terapia génica, pues existe un aumento significativo en las solicitudes en torno a 2014 y 2015. Hoy en día, la protección se centra en mejoras específicas en sistemas de entrega.



Este crecimiento en la presentación de patentes en este campo nos deja ver un gran número de solicitudes provenientes de EE. UU. y China.

Vale la pena resaltar la dificultad para obtener una protección amplia en estos casos debido a la naturaleza altamente específica de cada producto de terapia celular, como en el caso de las terapias CAR-T.

Importancia de la propiedad intelectual sólida:

- ▶ Dada la complejidad, el costo y la rapidez con la que evoluciona la tecnología, es importante resaltar la importancia de la propiedad intelectual sólida en este campo.
- ▶ Recuerde, la protección no solo se centra en el producto celular en sí, sino también en los vectores, métodos de cultivo, regímenes de tratamiento y dosificación.

Desafíos y retos en la patentabilidad

Destaca los desafíos en la patentabilidad, especialmente en la necesidad de respaldo de datos para mostrar mejoras tecnológicas y resolver problemas específicos.

Se enfatiza la importancia de datos comparativos, *benchmarks* y la elección de modelos apropiados en los experimentos para respaldar la patentabilidad.

Uno de los desafíos clave en el campo de la terapia génica es la necesidad de respaldo de datos sólidos para respaldar la patentabilidad.



Desafío en la patentabilidad:

- ▶ Al buscar patentar mejoras tecnológicas o soluciones a problemas específicos, se enfrentan desafíos significativos. No es suficiente simplemente proponer una solución; debe demostrarse que la solución propuesta es efectiva y representa un avance significativo sobre la tecnología existente.

Respaldo de datos:

- ▶ La importancia de datos comparativos implica la realización de experimentos que demuestren cómo la nueva tecnología mejora o supera a las tecnologías existentes. Los datos deben respaldar la eficacia, la especificidad y otros aspectos relevantes de la invención.

Elección de modelos apropiados:

- ▶ Existe una necesidad de elegir modelos apropiados en los experimentos. Esto significa seleccionar sistemas o entornos de prueba que sean representativos y relevantes para la aplicación clínica o terapéutica. La elección de modelos incorrectos puede debilitar la solidez de los datos respaldatorios.

Consideración de la generalización y plausibilidad:

- ▶ En el caso de mejoras tecnológicas, es importante respaldar la generalización y la plausibilidad. Esto implica no solo demostrar que la tecnología funciona en un contexto específico, sino también mostrar su utilidad en diferentes entornos o modelos.

Planificación cuidadosa de experimentos:

- ▶ Se aconseja una planificación cuidadosa de los experimentos con la pregunta fundamental en mente: ¿la población celular o la tecnología propuesta es verdaderamente novedosa o simplemente una caracterización? Esta planificación facilita el proceso de concesión de patentes.



Recuerde: la clave está en respaldar las reclamaciones de patente con datos sólidos y demostrar la significativa contribución a la tecnología existente. Además, la elección cuidadosa de modelos y la consideración de la generalización y plausibilidad son aspectos esenciales para superar los desafíos en la concesión de patentes en el campo de la terapia génica.

Propiedad intelectual como herramienta de negocios

La propiedad intelectual no debe considerarse simplemente como un acto de cumplimiento legal o una formalidad, sino como una herramienta estratégica diseñada para fortalecer la posición de un negocio. La PI tiene el propósito de controlar las relaciones comerciales, tanto con competidores como con colaboradores, proveedores y clientes.

Bloqueo de competidores:

La PI se presenta como un medio para bloquear a los competidores en un segmento de mercado específico. Al obtener derechos de patente sobre una tecnología innovadora, una empresa puede establecer barreras para la entrada de competidores y garantizar su posición como líder en ese espacio.



Consideración del entorno empresarial:

Es necesario considerar el entorno empresarial específico al planificar estrategias de PI. Esto incluye evaluar la competencia, comprender lo que están haciendo los competidores y determinar cómo la tecnología de la empresa se diferencia en ese contexto.

Alineación con el modelo de negocio:

Un punto crítico es la alineación de las patentes con el modelo de negocio de la empresa. Se debe considerar cómo se planea ganar dinero y cómo los derechos de patente respaldarán esos objetivos. Esto puede incluir atraer inversiones, desarrollar productos internamente o buscar asociaciones estratégicas.

Libertad para operar y evitar infracciones:

Aunque se busque proteger las propias invenciones, también es esencial asegurarse de no infringir los derechos de propiedad intelectual de otros. La libertad para operar sin conflictos legales con terceros es una consideración crítica.

Rol en colaboraciones y relaciones comerciales:

La propiedad intelectual se presenta como un elemento clave en las colaboraciones y relaciones comerciales. Antes de firmar acuerdos, se aconseja presentar solicitudes de patente para garantizar que la información no se divulgue antes de protegerla. También se destaca la importancia de establecer términos claros en acuerdos comerciales, definiendo roles y derechos de propiedad intelectual.



Negociación y protección a largo plazo:

La PI no solo se trata de obtener derechos, sino también de negociar acuerdos a largo plazo. Esto incluye considerar qué sucede en el desarrollo futuro dentro de una colaboración y cómo se manejarán los derechos de propiedad intelectual en esos casos.

Uso estratégico en el mercado:

La PI no solo se ve como una herramienta legal, sino como una estrategia de mercado. Al bloquear a los competidores y tener derechos sólidos, una empresa puede influir en la percepción del mercado y tener una posición más sólida en términos de competencia.

Protección más allá de las patentes:

Además de las patentes, se destaca que la PI también puede incluir otros elementos, como protección para marcas, secretos comerciales y *know-how*. La combinación de estos elementos puede ofrecer una protección más completa y robusta.

Conclusiones

- ▶ La terapia génica es un campo en constante evolución con un alto potencial de mercado. La innovación continua es esencial para abordar desafíos y aprovechar oportunidades.
- ▶ En el contexto de la terapia CAR-T, los desafíos incluyen problemas como la toxicidad celular. La mejora de tecnologías existentes requiere un respaldo sólido de datos para demostrar la efectividad y el paso inventivo.



- ▶ Las solicitudes de patentes en terapia génica varían, desde mejoras en tecnologías existentes hasta nuevos objetivos y epítomos. Cada categoría presenta desafíos únicos en términos de novedad, paso inventivo y datos de respaldo.
- ▶ La protección de productos en terapia celular (autóloga o alogénica) implica desafíos específicos. Los datos de respaldo, la elección de modelos adecuados y la plausibilidad son esenciales para establecer la patentabilidad.
- ▶ La diferenciación celular presenta desafíos inherentes, especialmente al distinguir poblaciones tratadas de la técnica anterior. La protección se centra en métodos de producción y características mejoradas obtenidas mediante técnicas innovadoras.
- ▶ La propiedad intelectual no es solo un ejercicio legal, sino una herramienta estratégica para los negocios. Debe alinearse con el modelo de negocio, contribuir al desarrollo y ser una barrera frente a competidores.
- ▶ La protección para usos médicos secundarios y posteriores ofrece oportunidades para sustancias conocidas utilizadas de manera novedosa en terapias. La redacción precisa de reclamaciones es crucial, y estas protecciones son importantes en estrategias comerciales.
- ▶ Al entrar en colaboraciones, es esencial proteger la información antes de divulgarla. Establecer términos claros sobre derechos, responsabilidades y propiedad de desarrollos futuros es vital para el éxito de las relaciones comerciales.
- ▶ La propiedad intelectual debe alinearse con los requisitos regulatorios. Un portafolio de patentes debe reflejar propiedades importantes para la aprobación regulatoria y facilitar la obtención de certificados de protección complementaria.



- ▶ Considerar las diferencias en prácticas de propiedad intelectual entre jurisdicciones es esencial. Las estrategias deben adaptarse a los requisitos locales y las particularidades de protección.

Es necesario comprender la complejidad de la propiedad intelectual en este ámbito, desde desafíos específicos hasta la importancia estratégica en el desarrollo de terapias innovadoras. La combinación de innovación continua, datos sólidos y estrategias de propiedad intelectual efectivas contribuirá al éxito en este campo dinámico y prometedor de la terapia génica.

