



(12) **Translation of
european patent specification**

(11) **NO/EP 2318037 B1**

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 38/47 (2006.01)
A61P 1/16 (2006.01)
A61P 3/00 (2006.01)
A61P 21/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(21)	Translation Published	2015.07.06
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2015.01.28
(86)	European Application Nr.	09794820.2
(86)	European Filing Date	2009.07.08
(87)	The European Application's Publication Date	2011.05.11
(30)	Priority	2008.07.08, US, 129612 P
(84)	Designated Contracting States:	AT BE BG CH CY CZ DE DK EE ES FI FR GB GR HR HU IE IS IT LI LT LU LV MC MK MT NL NO PL PT RO SE SI SK SM TR
(73)	Proprietor	Duke University, P.O. Box 90083, Durham, NC 27708-0083, US-USA
(72)	Inventor	CHEN, Yuan-Tsong, c/o Duke University P.O. Box 90083, Durham, NC 27708-0083, US-USA KISHNANI, Priya, c/o Duke University P.O. Box 90083, Durham, NC 27708-0083, US-USA SUN, Baodong, c/o Duke University P.O. Box 90083, Durham, NC 27708-0083, US- USA
(74)	Agent or Attorney	Tandbergs Patentkontor AS, Postboks 1570 Vika, 0118 OSLO, Norge

(54)	Title	METHOD OF TREATING GLYCOGEN STORAGE DISEASE
(56)	References Cited:	WO-A1-00/34451 US-A1- 2002 110 551 VAN DIGGELEN O P ET AL: "Debranching enzyme in fibroblasts, amniotic fluid cells and chorionic villi: pre- and postnatal diagnosis of glycogenosis type III", CLINICA CHIMICA ACTA, ELSEVIER BV, AMSTERDAM, NL, vol. 149, no. 2-3, 15 July 1985 (1985-07-15), pages 129-134, XP023967872, ISSN: 0009-8981, DOI: 10.1016/0009-8981(85)90326-2 [retrieved on 1985-07-15] IWAMASA T ET AL: "Glycogen storage disease. Studies related to the mechanism of glycogenosome formation.", PATHOLOGY, RESEARCH AND PRACTICE MAR 1983 LNKD- PUBMED:6304667, vol. 176, no. 2-4, March 1983 (1983-03), pages 236-252, XP9155340, ISSN: 0344-0338 WU J Y ET AL: "Expression of catalytically active human multifunctional glycogen-debranching enzyme and lysosomal acid alpha-glucosidase in insect cells.", BIOCHEMISTRY AND MOLECULAR BIOLOGY INTERNATIONAL JUL 1996 LNKD- PUBMED:8843344, vol. 39, no. 4, July 1996 (1996-07), pages 755-764, XP009155344, ISSN: 1039-9712 TSAO C Y ET AL: "A hypotonic infant with complete deficiencies of acid maltase and debrancher enzyme.", JOURNAL OF CHILD NEUROLOGY JAN 1994 LNKD- PUBMED:8151092, vol. 9, no. 1, January 1994 (1994-01), pages 90-91, XP009155339, ISSN: 0883-0738

JOSEPH A. ET AL.: 'Immune tolerance induction to enzyme-replacement therapy by co-administration of short-term, low-dose methotrexate in a murine Pompe disease model.' CLIN EXP IMMUNOL. vol. 152, no. 1, April 2008, pages 138 - 146, XP008140815

MCVIE-WYLIE AJ ET AL.: 'Biochemical and pharmacological characterization of different recombinant acid alpha-glucosidase preparations evaluated for the treatment of Pompe disease.' MOL GENET METAB. vol. 94, no. 4, August 2008, pages 448 - 455, XP022833455

SOLIMAN O1 ET AL.: 'Cardiac involvement in adults with Pompe disease.' J INTERN MED. vol. 264, no. 4, October 2008, pages 333 - 339, XP008140821

ARAD M ET AL.: 'Glycogen storage diseases presenting as hypertrophic cardiomyopathy.' N ENGL J MED. vol. 352, no. 4, 27 January 2005, pages 362 - 372, XP008140824

MARTINIUK F ET AL.: 'Correction of glycogen storage disease type II by enzyme replacement with a recombinant human acid maltase produced by over-expression in a CHO-DHFR(neg) cell line.' BIOCHEM BIOPHYS RES COMMUN. vol. 276, no. 3, 05 October 2000, pages 917 - 923, XP002262096

Enclosed is a translation of the patent claims in Norwegian. Please note that as per the Norwegian Patents Acts, section 66i the patent will receive protection in Norway only as far as there is agreement between the translation and the language of the application/patent granted at the EPO. In matters concerning the validity of the patent, language of the application/patent granted at the EPO will be used as the basis for the decision. The patent documents published by the EPO are available through Espacenet (<http://worldwide.espacenet.com>) or via the search engine on our website here: <https://search.patentstyret.no/>

P a t e n t k r a v

1. Menneskelig syre α -glukosidase for bruk i behandlingen glykogenlagringssykdom
5 type III i et individ, ved administrering til individet i en terapeutisk effektiv mengde med jevne mellomrom, helst månedlig, annenhver måned, ukentlig, to ganger ukentlig eller daglig.
2. Menneskelig syre α -glukosidase for anvendelse ifølge Krav 1, karakterisert ved at
10 den terapeutisk effektive Mengden av human syre α -glukosidase er mindre enn ca 40 mg av syre α -glukosidase pr kilogram kroppsvekt av individet.
3. Menneskelig syre α -glukosidase for anvendelse ifølge Krav 1, karakterisert ved at
15 den menneskelige syre α -glukosidase er rekombinant menneskelig syre α -glukosidase eller en forløper av rekombinant menneskelig syre α -glukosidase, der nevnte rekombinante menneskelige syre α -glukosidase helst blir produsert i ovarie-celler til kinesiske hamstere.
4. Menneskelig syre α -glukosidase for anvendelse ifølge Krav 1, karakterisert ved at det
20 menneskelige syre α -glukosidase er for administrering ved en rute er valgt fra gruppen bestående av: intravenøst, intramuskulært, intratekalt og intraventrikulært.
5. Menneskelig syre α -glukosidase for anvendelse ifølge Krav 1, karakterisert ved at det
25 menneskelige syre α -glukosidase er for administrering sammen med, eller etter administrasjon av et legemiddel.
6. Anvendelse av en terapeutisk effektiv mengde av menneskelig syre α -glukosidase for
30 fremstilling av et medikament for behandling av glykogenlagringssykdommer type III i et individ, fortrinnsvis nevnte medikament blir forberedt til å bli administrert ved en vanlig intervall som er månedlig, annenhver måned, ukentlig, to ganger ukentlig eller daglig.
7. Anvendelse ifølge krav 6, karakterisert ved at den terapeutisk effektive mengden av
35 menneskelig syre α -glukosidase er mindre enn ca. 40 mg av syre α -glukosidase pr kilogram kg kroppsvekt av individet.
8. Anvendelse ifølge krav 6, karakterisert ved at den menneskelige syre α -glukosidase er en rekombinant menneskelig syre α -glukosidase eller forløper av rekombinant

menneskelig syre α -glukosidase, der nevnte rekombinante menneskelig syre α -glukosidase fortrinnsvis produseres i eggstokk-cellene til kinesiske hamstere.

5 9. Anvendelse ifølge krav 6, hvor medikamentet fremstilles som skal administreres ved en rute er valgt fra gruppen bestående av intravenøst, intramuskulært, intratekalt og intraventrikulært.

10. Anvendelse ifølge krav 6, karakterisert ved at medikamentet ytterligere omfatter en immunosuppressant.