



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 2475675 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12N 15/113 (2010.01)
A61K 31/712 (2006.01)
A61K 31/7125 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(21)	Translation Published	2017.04.10
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2016.11.16
(86)	European Application Nr.	10816206.6
(86)	European Filing Date	2010.09.10
(87)	The European Application's Publication Date	2012.07.18
(30)	Priority	2009.09.11, US, 241853 P
(84)	Designated Contracting States:	AL 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	Ionis Pharmaceuticals, Inc., 2855 Gazelle Court, Carlsbad, CA 92010, US-USA
(72)	Inventor	HUNG, Gene, 1896 Rutherford Road, Carlsbad, CA 92008, US-USA BENNETT, C., Frank, 1896 Rutherford Road, Carlsbad, CA 92008, US-USA FREIER, Susan, M., 1896 Rutherford Road, Carlsbad, CA 92008, US-USA KORDASIEWICZ, Holly, 4718 Aragon Drive, San Diego, CA 92115, US-USA STANEK, Lisa, 64 Allston Street Apt. 1, Cambridge, MA 02139, US-USA CLEVELAND, Don, W., 14181 Half Moon Bay Dr., Del Mar, CA 92014, US-USA CHENG, Seng, H., 10 Jennison Circle, Natick, MA 01760, US-USA SHIHABUDDIN, Lamya, 1933 Commonwealth Ave., Brighton, MA 02135, US-USA
(74)	Agent or Attorney	Oslo Patentkontor AS, Postboks 7007 Majorstua, 0306 OSLO, Norge

(54) Title **MODULATION OF HUNTINGTIN EXPRESSION**

(56) References
Cited: WO-A1-00/03720
 WO-A1-99/50409
 US-A1- 2008 039 418
 US-A1- 2009 092 981
 US-B2- 7 320 965

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. Enkeltkjedet modifisert oligonukleotid rettet mot en nukleinsyre som koder for huntingtin og som er i stand til å inhibere huntingtin-ekspresjon, hvor det modifiserte oligonukleotidet omfatter:

et gap-segment bestående av ti bundne deoksynukleosider;

et 5' endesegment bestående av fem bundne nukleosider og

et 3' endesegment bestående av fem bundne nukleosider;

hvor gap-segmentet ligger mellom 5' endesegmentet og 3' endesegmentet ,

hvor hvert nukleosid av hvert endesegment omfatter et 2'-O-metoksyetyl-sukker;

hvor internukleosid-bindingene i gap-segmentet, bindingene som forbinder gap-segmentet til 5' og 3' endesegmentet og bindingene for de ytre 5' og 3' nukleosidene av hvert endesegment alle er fosfortioat-bindinger, internukleosid-bindingene som binder resten av nukleosidene av både 5' og 3' endesegmentene, er fosfodies-ter-bindinger og

hvor alle cytosiner er 5-metylcytosiner og

hvor nukleobase-sekvensen av oligonukleotidet består av en sekvens angitt i SEQ ID NO: 22 eller 32.

2. Oligonukleotid ifølge krav 1, hvor nukleobase-sekvensen av oligonukleotidet består av sekvensen angitt i SEQ ID NO: 22 (ISIS 443139).

3. Oligonukleotid ifølge krav 1, hvor nukleobase-sekvensen av oligonukleotidet består av sekvensen angitt i SEQ ID NO: 32 (ISIS 444652).

4. Oligonukleotid ifølge ethvert av de foregående krav, hvor oligonukleotidet er konjugert.

5. Sammensetning omfattende oligonukleotidet ifølge ethvert av kravene 1 – 4 eller et salt derav samt et farmasøytisk akseptabelt bæremiddel eller fortynningsmiddel.

6. Oligonukleotid ifølge ethvert av kravene 1 – 4 eller sammensetning ifølge krav 5 for anvendelse innen terapi.

7. Oligonukleotid ifølge ethvert av kravene 1 – 4 eller sammensetning ifølge krav 5, for anvendelse ved forebygging, behandling, lettelse eller forsinkelse av progresjonen av Huntingtons sykdom i et dyr.

8. Oligonukleotid eller sammensetning for anvendelse ifølge krav 7, hvor dyret er et menneske.

9. Oligonukleotid eller sammensetning for anvendelse ifølge krav 7 eller krav 8, hvor oligonukleotidet eller sammensetningen administreres sammen med et andre middel.

10. Oligonukleotid eller sammensetning ifølge krav 9, hvor oligonukleotidet eller sammensetningen og det andre middel administreres samtidig.