



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 2678435 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12N 15/864 (2006.01)
C12N 9/10 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(21)	Translation Published	2018.10.15
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2018.05.16
(86)	European Application Nr.	12706308.9
(86)	European Filing Date	2012.02.21
(87)	The European Application's Publication Date	2014.01.01
(30)	Priority	2011.02.22, GB, 201103062
(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 ; RS ; SE ; SI ; SK ; SM ; TR
(73)	Proprietor	Oxford University Innovation Limited, Buxton Court 3 West Way, Botley Oxford OX2 0JB, Storbritannia
(72)	Inventor	MACLAREN, Robert, University of Oxford Nuffield Laboratory of Ophthalmology (Department) Levels 5&6 West Wing John Radcliffe Hospital Headington, Oxford Oxfordshire OX3 9DU, Storbritannia SEABRA, Miguel, Imperial College London South Kensington Campus, London SW7 2AZ, Storbritannia DURING, Matthew John, Ohio State University Medical Center 912 Biomedical Research Tower 460 W 12th Ave, Columbus, Ohio 43210, USA
(74)	Agent or Attorney	TANDBERG INNOVATION AS, Postboks 1570 Vika, 0118 OSLO, Norge

(54)	Title	AAV-VECTORS FOR USE IN GENE THERAPY OF CHOROIDEREMIA
(56)	References Cited:	WO-A2-01/68888, WO-A1-2011/088081, WO-A2-2004/084951, WO-A1-2009/097129, T. TOLMACHOVA ET AL: "Retinal Pigment Epithelium Defects Accelerate Photoreceptor Degeneration in Cell Type-Specific Knockout Mouse Models of Choroideremia", INVESTIGATIVE OPHTHALMOLOGY & VISUAL SCIENCE, vol. 51, no. 10, 1 October 2010 (2010-10-01), pages 4913-4920, XP55027781, ISSN: 0146-0404, DOI: 10.1167/iov.09-4892, ALBERT M. MAGUIRE ET AL: "Safety and Efficacy of Gene Transfer for Leber's Congenital Amaurosis", NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE, vol. 358, no. 21, 22 May 2008 (2008- 05-22) , pages 2240-2248, XP55027817, ISSN: 0028-4793, DOI: 10.1056/NEJMoa0802315

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/>

Patentkrav

5

1. Adenoforbundet vektorpartikkel av virusserotype 2 (AAV2-vektorpartikkel) for anvendelse ved behandling eller forebygging av koridemi, hvori genomet til partikkelen er et AAV2-genom som omfatter en polynukleotidsekvens som koder for REP1 som vist i SEQ ID NO:3 eller en variant derav som har minst 97 % identitet over hele lengden av SEQ ID NO:3, hvori polynukleotidsekvensen som koder for REP1, er operativt forbundet til en promotorsekvens.

10

2. AAV2-vektorpartikkel for anvendelse ifølge krav 1, hvori genomet er som vist i SEQ ID NO:1 og/eller mangler ett eller flere fra gruppen med en invertert terminalgjentakelsesrepetisjonssekvens (ITR-sekvens), replikasjongssekvensen (rep-gensekvensen) og kapsidgensekvensen (kap-gensekvensen).

15

3. AAV2-vektorpartikkel for anvendelse ifølge krav 1 eller 2, hvori REP1 har sekvensen til SEQ ID NO:3.

20

4. AAV2-vektorpartikkel for anvendelse ifølge krav 1 eller 2, hvori polynukleotidsekvensen som koder for REP1 som vist i SEQ ID NO:3 har minst 90 % identitet med SEQ ID NO: 2 over hele sekvensen sin.

25

5. AAV2-vektorpartikkel for anvendelse ifølge ett av kravene 1 til 4, hvori promotoren er konstitutivt aktiv.

6. AAV2-vektorpartikkel for anvendelse ifølge ett av kravene 1 til 4, hvori uttrykkingen fra promotoren er retinalcellespesifikk.

30

7. AAV2-vektorpartikkel for anvendelse ifølge ett av kravene 1 til 6, som omfatter én eller flere ytterligere regulatoriske sekvenser.

8. AAV2-vektorpartikkel for anvendelse ifølge krav 7, hvori genomet omfatter en sekvens som har minst 70 % identitet med SEQ ID NO: 5 over hele sekvensen sin.

35

9. AAV-vektorpartikkel for anvendelse ifølge ett av de foregående kravene, hvori vektorpartikkelen administreres ved direkte retinal, subretinal eller intravitreal injeksjon.

10. AAV2-vektorpartikkel for anvendelse ifølge ett av de foregående kravene, hvori
5 vektorpartikkelen administreres direkte inn i det subretinale rommet.