



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 2959005 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 38/45 (2006.01)
A61K 31/7088 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2022.02.14
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2021.10.06
(86)	European Application Nr.	14754545.3
(86)	European Filing Date	2014.02.22
(87)	The European Application's Publication Date	2015.12.30
(30)	Priority	2013.02.22, US, 201361768047 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 ; RS ; SE ; SI ; SK ; SM ; TR
(73)	Proprietor	The Board of Trustees of the Leland Stanford Junior University, Office of the General Counsel Building 170, Third Floor, Main Quad P.O. Box 20386, Stanford, CA 94305-2038, USA
(72)	Inventor	RAMUNAS, John, 425 Olive Street, Menlo Park, California 94025, USA YAKUBOV, Eduard, 2600 Gramercy Street332, Houston, Texas 77030, USA BLAU, Helen M., 580 Cotton Street, Menlo Park, California 94025, USA COOKE, John, Apt. 845Arcadian Kirby7550 Kirby Drive, Houston, Texas 77030, USA
(74)	Agent or Attorney	ONSAGERS AS, Postboks 1813, Vika, 0123 OSLO, Norge

(54)	Title	MEDICAL USE RELATING TO TELOMERE EXTENSION
(56)	References Cited:	WO-A2-2011/130624 US-A1- 2011 143 397 US-B2- 8 323 975

KARIKO, K ET AL.: 'Incorporation Of Pseudouridine Into mRNA Yields Superior Nonimmunogenic Vector With Increased Translational Capacity And Biological Stability.' MOLECULAR THERAPY. vol. 16, 2008, pages 1833 - 1840, XP002598556

GREIDER, CW ET AL.: 'Telomeres, Telomerase and Senescence.' BIOESSAYS. vol. 12, no. 8, August 1990, pages 363 - 369, XP055278069

Virginia Boccardi ET AL: "Telomerase gene therapy: a novel approach to combat aging : Telomerase gene therapy", EMBO molecular medicine, vol. 4, no. 8, 1 August 2012 (2012-08-01), pages 685-687, XP055481726, Weinheim ISSN: 1757-4676, DOI: 10.1002/emmm.201200246

Bruno Bernardes De Jesus ET AL: "Telomerase gene therapy in adult and old mice delays aging and increases longevity without increasing cancer : TERT alone extends lifespan of adult/old mice", EMBO molecular medicine, vol. 4, no. 8, 15 May 2012 (2012-05-15), pages 691-704, XP055384661, Weinheim ISSN: 1757-4676, DOI: 10.1002/emmm.201200245

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

1. Forbindelse som omfatter en syntetisk ribonukleinsyre som omfatter minst ett modifisert nukleosid og som koder for en telomerase-reverstranskriptase for
5 anvendelse i en fremgangsmåte for behandling eller forebygging av
- (a) en sykdom som involverer korte telomerer som er valgt fra gruppen som består av metabolsk syndrom, diabetes, diabetessår, hjertesykdom, kreft, vaskulær demens, Alzheimers sykdom, slag, aldersrelatert makula-degenerering, immunosenescens, benmargssvikt, gastrointestinalsår, cirrhose, brokk, infeksjon,
10 kronisk infeksjon, mild eller alvorlig kognitiv svikt, svekket mobilitet, osteoporose, osteoartritt, reumatoid artritt, aldersrelatert angst, balanseforstyrrelser, tinnitus, Bells lammelse, katarakter, kronisk obstruktiv pulmonal sykdom, hornhinneslitasje, koronar arteriesykdom, perifer arteriesykdom, konjunktivitt, chalazion, dehydrering, depresjon, emfysem, øyesykdom, trivselssvikt, influensa, generalisert
15 angstforstyrrelse, glaukom, hørselstap, tap av smakssans, tap av appetitt, hoftedislokasjon, hukommelsestap, Parkinsons sykdom, spinal stenose, urininkontinens, og ryggvirvelfraktur, eller
- b) en aldersrelatert lidelse hos et dyr som lider av eller som har risiko for å utvikle en aldersrelatert lidelse, der den aldersrelaterte lidelsen involverer korte
20 telomerer,
- der telomerase-reverstranskriptase blir uttrykt transient i en celle, og
- der minst én telomer blir forlenget inne i cellen, og
- der det minst ene modifiserte nukleosidet som er omfattet i den syntetiske ribonukleinsyren overfører redusert immunogenisitet til den syntetiske
25 ribonukleinsyren.
2. Forbindelse ifølge krav 1 for anvendelse ifølge krav 1,
- der ribonukleinsyren omfatter en 5'-cap, en 5' ikke-translatert region, en 3' ikke-translatert region og en poly-A-hale, og

- (a) poly-A-halen øker stabilitet for ribonukleinsyren, eventuelt der poly-A-halen er på minst 75 nukleotider, 100 nukleotider, 125 nukleotider, 150 nukleotider, eller
- (b) den 5' ikke-translaterte regionen eller den 3' ikke-translaterte regionen omfatter en sekvens fra et stabilt mRNA eller et mRNA som effektivt blir
5 translatert, eller
- (c) den 5' ikke-translaterte regionen og den 3' ikke-translaterte regionen omfatter begge en sekvens fra et stabilt mRNA eller et mRNA som effektivt blir translatert, eller
- (d) 5'-cap, den 5' ikke-translaterte regionen eller den 3' ikke-translaterte
10 regionen stabiliserer ribonukleinsyren eller øker translasjonsraten til ribonukleinsyren.
3. Forbindelse ifølge ethvert av kravene 1 til 2 for anvendelse ifølge ethvert av kravene 1 til 2,
- 15 der forbindelsen er omfattet i en sammensetning, der sammensetningen videre omfatter et leveringsvehikkel, og
- der leveringsvehikkelet ikke er et virus-leveringsvehikkel.
4. Forbindelse ifølge ethvert av kravene 1 til 3 for anvendelse ifølge ethvert av
20 kravene 1 til 3,
- der den aldersrelaterte lidelsen omfatter hjerteinfarkt, vaskulær demens, diabetes med komplikasjoner, kreft, slag, Alzheimers sykdom eller infeksjon.
5. Forbindelse ifølge ethvert av kravene 1 til 3 for anvendelse ifølge ethvert av
25 kravene 1 til 3,
- der den aldersrelaterte lidelsen omfatter en form av idiopatisk pulmonal fibrose, dyskeratosis congenita eller aplastisk anemi.