



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 2968586 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/7105 (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(21)	Translation Published	2018.11.19
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2018.07.25
(86)	European Application Nr.	14718284.4
(86)	European Filing Date	2014.03.14
(87)	The European Application's Publication Date	2016.01.20
(30)	Priority	2013.03.14, US, 201361783663 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
	Designated Extension States:	BA ME
(73)	Proprietor	Translate Bio, Inc., 29 Hartwell Avenue, Lexington, MA 02421, USA Ethris GmbH, Semmelweisstrasse 3, 82152 Planegg, Tyskland
(72)	Inventor	HEARTLEIN, Michael, c/o Shire Human Genetic Therapies, Inc.300 Shire Way, Lexington, MA 02421, USA GUILD, Braydon, Charles, 109 Riverdale Road, Concord, MA 01742, USA DEROSA, Frank, c/o Shire Human Genetic Therapies, Inc.300 Shire Way, Lexington, MA 02421, USA RUDOLPH, Carsten, c/o Ethris GmbH Lochhamerstr. 11, 82152 Martinsried, Tyskland PLANK, Christian, c/o Ethris GmbH Lochhamerstr. 11, 82152 Martinsried, Tyskland SMITH, Lianne, c/o Shire Human Genetic Therapies, Inc.300 Shire Way, Lexington, MA 02421, USA
(74)	Agent or Attorney	OSLO PATENTKONTOR AS, Postboks 7007 M, 0306 OSLO, Norge

(54) Title **CFTR MRNA COMPOSITIONS AND RELATED METHODS AND USES**

(56) References
Cited: WO-A2-2007/024708, WO-A2-99/14346, WO-A1-2012/170930, WO-A1-2013/185069, WO-A2-2011/012316, WO-A1-2013/182683, WO-A2-2008/045548

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.** *In vitro* transkribert mRNA omfattende en kodende sekvens som er minst 80% identisk med SEQ ID NO: 3 for anvendelse ved behandling av cystisk fibrose i et pattedyr.
- 5 **2.** mRNA for anvendelse ifølge krav 1, hvor den kodende sekvens er minst 90% eller er 100% identisk med SEQ ID NO: 3.
- 3.** mRNA for anvendelse ifølge krav 1 eller 2, hvor dette mRNA omfatter en 5' utranslatert region (UTR), en 3' UTR, en signalpeptid-kodende sekvens, en cap-struktur og/eller en halestruktur.
- 10 **4.** mRNA for anvendelse ifølge krav 3, hvor 5'-UTR omfatter SEQ ID NO: 4 og/eller 3'-UTR omfatter SEQ ID NO: 5.
- 5.** mRNA for anvendelse ifølge krav 3 eller 4, hvor halestrukturen er en poly-A-hale på minst 70, 100, 120, 150, 200 eller 250 residuer i lengde.
- 6.** mRNA for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 3 – 5, hvor cap-15 strukturen er en cap1-struktur.
- 7.** mRNA for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor dette mRNA omfatter én eller flere ikke-standard nukleotid(er), eventuelt hvor den ene eller flere ikke-standard nukleotid(er) er valgt fra 5-metyl-cytidin, pseudouridin og 2-thiouridin.
- 20 **8.** mRNA for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor sammensetningen administreres til lungen hos pattedyret ved inhalering, intranasal administrasjon, aerosolisering eller nebulisering.
- 9.** mRNA for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor dette mRNA omfatter en kodende sekvens som koder for human cystisk fibrose 25 transmembran konduktans-regulator (CFTR)-protein av SEQ ID NO: 1, eventuelt hvor det humane CFTR-protein uttrykkes i epitelialcellene i lungen.
- 10.** mRNA for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor dette mRNA administreres med et bæremiddel.

- 11.** Sammensetning omfattende et mRNA og et bæremiddel, hvor dette mRNA er et *in vitro* transkribert mRNA og har en kodende sekvens som er minst 80% identisk med SEQ ID NO: 3.
- 12.** mRNA for anvendelse ifølge krav 10 eller sammensetning ifølge krav 11,
5 hvor bæremiddelet omfatter et organisk kation, så som et kationisk lipid eller en kationisk organisk polymer.
- 13.** mRNA for anvendelse ifølge krav 12 eller sammensetning ifølge krav 12,
hvor den kationiske organiske polymer er valgt fra gruppen bestående av
polyetylenimin (PEI), protamin, PEGylert protamin, poly-L-lysin (PLL) og PEGylert
10 PLL.
- 14.** mRNA for anvendelse ifølge krav 13 eller sammensetning ifølge krav 13,
hvor PEI-materialet er forgrenet PEI med en molekylvekt i området fra 10 kDa til
40 kDa.
- 15.** mRNA for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 10 og 12 – 14
15 eller sammensetning ifølge et hvilket som helst av kravene 11 – 14, hvor bæremiddelet er et liposom.