



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3046537 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 9/127 (2006.01)
A61K 31/7028 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.11.29
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2021.07.14
(86)	European Application Nr.	14851464.9
(86)	European Filing Date	2014.09.16
(87)	The European Application's Publication Date	2016.07.27
(30)	Priority	2013.09.16, US, 201361878591 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	Glycomine, Inc., 733 Industrial Road, San Carlos, CA 94070, USA
(72)	Inventor	RAFALKO, Agnes, c/o Glycomine LLC953 Indiana Street, San Francisco, CA 94107, USA CHERNENKO, Tatyana, c/o Glycomine LLC953 Indiana Street, San Francisco, CA 94107, USA
(74)	Agent or Attorney	BRYN AARFLOT AS, Stortingsgata 8, 0161 OSLO, Norge

(54) Title **PHARMACEUTICAL PREPARATION OF CARBOHYDRATES FOR THERAPEUTIC USE**

(56) References
Cited:

US-A1- 2002 072 121
US-A1- 2013 171 233
US-A1- 2007 120 280
SUGIMOTO ET AL: "Oligomannose-coated liposomes as an adjuvant for the induction of cell-mediated immunity", FEBS LETTERS, ELSEVIER, AMSTERDAM, NL, vol. 363, no. 1-2, 1 January 1995 (1995-01-01), pages 53-56, XP002150858, ISSN: 0014-5793, DOI: 10.1016/0014-5793(95)00279-I
RUTSCHOW S ET AL: "Membrane-Permeant derivatives of mannose-1-phosphate", BIOORGANIC & MEDICINAL CHEMISTRY, PERGAMON, GB, vol. 10, 1 January 2002 (2002-01-01), pages 4043-4049, XP002259386, ISSN: 0968-0896, DOI: 10.1016/S0968-0896(02)00269-9
EKLUND ET AL.: 'Hydrophobic Man-1-P derivatives correct abnormal glycosylation in Type I congenital disorder of glycosylation fibroblasts.' GLYCOBIOLOGY vol. 15, no. 11, 2005, pages 1084 - 1093, XP002400127

GARBUZENKO O ET AL: "Effect of grafted PEG on liposome size and on compressibility and packing of lipid bilayer", CHEMISTRY AND PHYSICS OF LIPIDS, LIMERICK, IR, vol. 135, no. 2, 1 June 2005 (2005-06-01), pages 117-129, XP027648585, ISSN: 0009-3084 [retrieved on 2005-06-01]

PAMELA R. WESTMARK ET AL: "Boronic acids selectively facilitate glucose transport through a lipid bilayer", JOURNAL OF THE AMERICAN CHEMICAL SOCIETY, vol. 116, no. 20, 1 October 1994 (1994-10-01), pages 9343-9344, XP55352406, US ISSN: 0002-7863, DOI: 10.1021/ja00099a067

None

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. Sammensetning omfattende:

a) en lipidpartikkel, hvor lipidpartikkelen omfatter fosfatidyletanolamin (PE),

5

fosfatidylkolin (PC), og

et molekyl som er i stand til å minimere nedbrytning av lipidpartikkelen, øke retensjonen av lipidpartikkelen og/eller gjøre lipidpartikkelen immuntolerant når den administreres til et individ som trenger det,

10

hvor molekylet er polyetylenglykol (PEG), og

hvor PEG er konjugert til et fosfolipid; og

b) et endogent karbohydrat valgt fra gruppen bestående av mannose, en fosforylert mannose, en mannofuranose, en fosforylert mannofuranose, en mannopyranose, en fosforylert mannopyranose og mannose-1-fosfat,

15

hvor det endogene karbohydratet er innkapslet i lipidpartikkelen.

2. Sammensetning ifølge krav 1, hvor PE er tilstede i en konsentrasjon på opptil 50 molprosent.

20

3. Sammensetning ifølge krav 1 eller 2, hvor PC er tilstede i en konsentrasjon på opptil 50 molprosent.

4. Sammensetning ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 3, hvor lipidpartikkelen er et liposom og fosfolipidet er 1,2-distearoyl-sn-glysero-3-fosfoetanolamin (DSPE).

25

5. Sammensetning ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 4, hvor fosfolipidet er tilstede i en konsentrasjon på omtrent 3 molprosent.

30

6. Sammensetning ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 5, hvor det endogene karbohydratet er mannose-1-fosfat.

5 7. Sammensetning ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 6, hvor sammensetningen, når den administreres til et individ som trenger det, inducerer minst 0,05 ganger til minst 3 ganger økning i cellulær produksjon av høyere ordens lipidbundne oligosakkarider i individet, sammenlignet med cellulær produksjon av lipider-bundne oligosakkarider av høyere orden i individet i fravær av administrering av
10 preparatet til individet.

8. Farmasøytisk sammensetning omfattende sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 7, og en farmasøytisk akseptabel bærer.

15

9. Sammensetning ifølge et av kravene 1 til 7 for anvendelse i en fremgangsmåte for å levere *in vivo* et karbohydrat til det indre av en celle, omfattende administrering til cellen av sammensetningen, hvor den administrerte sammensetningen trenger igjennom cellens
20 plasmamembran for å levere karbohydratet til indre av cellen.

10. En metode for å levere *in vitro* et karbohydrat til det indre av en celle, omfattende administrering til cellen av sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 7, hvor den administrerte
25 sammensetningen trenger igjennom cellens plasmamembran for å levere karbohydratet til cellens indre.

11. Sammensetning ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 7 for anvendelse i en fremgangsmåte for å levere et karbohydrat til et individ
30 som trenger det, omfattende å administrere preparatet til individet.

12. Sammensetning ifølge et av kravene 1 til 7 for anvendelse ved behandling av en medfødt lidelse av glykosylering (CDG) hos et individ som trenger det, omfattende administrering av sammensetningen til individet.

5

13. Sammensetning for bruk ifølge krav 12, hvor den medfødte glykosyleringsforstyrrelsen (CDG) er en CDG-Ia-lidelse.

10

14. Metode ifølge krav 10 eller sammensetningen for anvendelse av et hvilket som helst av kravene 9 og 11 til 13, hvor administrering av sammensetningen induserer minst 0,05 ganger til minst en 3 ganger økning i cellulær produksjon av høyere ordens lipidkoblede oligosakkarider i det indre av cellen, sammenlignet med cellulær produksjon av lipidbundne oligosakkarider av høyere orden i cellens indre i fravær av administrering av sammensetningen til cellens indre.

15