



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3060660 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12N 9/40 (2006.01)
A61K 38/00 (2006.01)
A61K 38/47 (2006.01)
C07K 14/705 (2006.01)
C12P 21/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.11.15
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2021.06.23
(86)	European Application Nr.	14796346.6
(86)	European Filing Date	2014.10.22
(87)	The European Application's Publication Date	2016.08.31
(30)	Priority	2013.10.23, US, 201361894879 P 2013.11.08, US, 201361901942 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	Genzyme Corporation, 50 Binney Street, Cambridge, MA 02142, USA
(72)	Inventor	LEE, Karen, c/o Sanofi 55 Corporate Drive Mail Code: 55A-505A, Bridgewater, New Jersey 08807, USA HWANG, Christopher, c/o Sanofi 55 Corporate Drive Mail Code: 55A-505A, Bridgewater, New Jersey 08807, USA DEMARIA, Christine, c/o Sanofi 55 Corporate Drive Mail Code: 55A-505A, Bridgewater, New Jersey 08807, USA
(74)	Agent or Attorney	ZACCO NORWAY AS, Postboks 488, 0213 OSLO, Norge

(54)	Title	RECOMBINANT GLYCOPROTEINS AND USES THEREOF
(56)	References Cited:	US-A- 6 083 725, US-A- 5 356 804 MATSUURA ET AL: "Human alpha-galactosidase A: characterization of the N-linked oligosaccharides on the intracellular and secreted glycoforms overexpressed by Chinese hamster ovary cells", GLYCOBIOLOGY, OXFORD UNIVERSITY PRESS, US, vol. 8, no. 4, 1 April 1998 (1998-04-01), pages 329-339, XP000925912, ISSN: 0959-6658, DOI: 10.1093/GLYCOB/8.4.329 IOANNOU Y A ET AL: "OVEREXPRESSION OF HUMAN ALPHA-GALACTOSIDASE A RESULTS IN ITS INTRACELLULAR AGGREGATION, CRYSTALLIZATION IN LYSOSOMES, AND SELECTIVE SECRETION", THE JOURNAL OF CELL BIOLOGY : JCB, THE ROCKEFELLER UNIVERSITY PRESS, US, vol. 119, no. 5, 1 December 1992 (1992-12-01), pages 1137-1150, XP000616658, ISSN: 0021-9525, DOI: 10.1083/JCB.119.5.1137

YOUNGSOO SOHN ET AL: "Enhanced sialylation and in vivo efficacy of recombinant human [alpha]-galactosidase through in vitro glycosylation", BMB REPORTS, vol. 46, no. 3, 31 March 2013 (2013-03-31) , pages 157-162, XP055167240, ISSN: 1976-6696, DOI: 10.5483/BMBRep.2013.46.3.192

LEE KAREN ET AL: "A biochemical and pharmacological comparison of enzyme replacement therapies for the glycolipid storage disorder Fabry disease", GLYCOBIOLOGY, OXFORD UNIVERSITY PRESS, US, vol. 13, no. 4, 1 April 2003 (2003-04-01), pages 305-313, XP002489129, ISSN: 0959-6658, DOI: 10.1093/GLYCOB/CWG034 cited in the application

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/>

3060660

1

Patentkrav

1. Rekombinant humant α -galaktosidase-A (rhAGA)-protein, med:
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 11 som er bis-
 - mannose-6-fosforylerte oligosakkarider som er større enn 9%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 3 som er mono-
 - sialylerte oligosakkarider uten fukose som er mellom 0,1% og 1,6%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 4 som er bi-
 - sialylerte fukose-inneholdende oligosakkarider som er større enn 13,5 %;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 6' som er tri-
 - antennære, tri-sialylerte oligosakkarider av form 2 som er større enn 2,0%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 1 som er nøytralt
 - ladde oligosakkarider som er mellom 0,1 % og 3,9%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 2 som er mono-
 - sialylerte fukose-inneholdende oligosakkarider som er mellom 0,1% og 3,0%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 5 som er bi-
 - sialylerte oligosakkarider som er mellom 0,1 % og 5,3%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 6 som er tri-
 - antennære, tri-sialylerte oligosakkarider av form 1 som er mellom 0,1% og 9,0%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 7 som er mannose-
 - 6-fosforylerte oligosakkarider som er mellom 1% og 7,0%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 8 som er mono-
 - fosforylerte oligosakkarider som er større enn 14,8%;
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 9 som er tetra-
 - sialylerte oligosakkarider som er større enn 4,9%; og
 - en prosentandel av alle N-bundne oligosakkarider i topp 10 som er mono-
 - sialylerte og mono-fosforylerte oligosakkarider som er større enn 8,2%;
 - hvor toppene er bestemt gjennom antranilsyre-merket N-bundet
 - oligosakkarid-profilering.
2. Farmasøytisk sammensetning omfattende rhAGA-proteinet ifølge krav 1,
og en farmasøytisk akseptabel bærer.
3. Farmasøytisk sammensetning ifølge krav 2, hvor sammensetningen er
formulert for intravenøs, intraarteriell, intramuskulær, intradermal, subkutan eller

3060660

2

intraperitoneal

administrering.

4. Farmasøytisk sammensetning ifølge krav 3, hvor den farmasøytiske sammensetningen omfatter en rhAGA-konsentrasjon på 4 mg/mL til 6 mg/mL.

5

5. Farmasøytisk sammensetning ifølge krav 4, hvor den farmasøytiske sammensetningen omfatter en rhAGA-konsentrasjon på 5 mg/mL.

10

6. Farmasøytisk sammensetning ifølge krav 2, hvor den farmasøytiske sammensetningen er et sterilt, frysetørret pulver.

15

7. Farmasøytisk sammensetning ifølge krav 6, hvor den farmasøytisk akseptable bæreren er ett eller flere virkende midler valgt fra gruppen bestående av: mannitol, enbasisk natriumfosfat-monohydrat og tobasisk natriumfosfat-heptahydrat.

20

8. rhAGA-protein ifølge krav 1 for bruk ved behandling av Fabrys sykdom.

9. rhAGA-protein for bruk ifølge krav 8, hvor bruken er i en fremgangsmåte for å øke nivået av α -galaktosidase-A-protein i et lysosom i en pattedyrceile hos et individ, hvor pattedyrceilen blir bragt i kontakt med rhAGA-proteinet.

25

10. rhAGA-protein for bruk ifølge krav 8, hvor bruken er i en fremgangsmåte for å redusere nivået av globotriaosylceramid i serumet til et individ.

11. rhAGA-protein for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 8-10, hvor rhAGA-proteinet blir administrert intravenøst.

30

12. rhAGA-protein for bruk ifølge krav 11, hvor rhAGA-proteinet blir administrert i en dose på 0,5 mg/kg kroppsvekt til 2,0 mg/kg kroppsvekt.

13. rhAGA-protein for bruk ifølge krav 12, hvor rhAGA-proteinet blir administrert i en dose på 1,0 mg/kg kroppsvekt.

3060660

3

14. rhAGA-protein for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 8-10, hvor to eller flere doser av rhAGA-proteinet administrert, hvor minst to av de to eller flere dosene av rhAGA-proteinet blir administrert med to ukers mellomrom.