



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3099333 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12Q 1/6883 (2018.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.02.22
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2020.11.18
(86)	European Application Nr.	15743948.0
(86)	European Filing Date	2015.01.30
(87)	The European Application's Publication Date	2016.12.07
(30)	Priority	2014.01.31, US, 201461934483 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	Temple University of the Commonwealth System of Higher Education, Broad Street and Mondgomery Avenue, Philadelphia, PA 19122, USA
(72)	Inventor	FELDMAN, Arthur, M., 136 Knightsbridge, Wynnewood, PA 19096, USA TILLEY, Douglas, G., 846 Penn Street, Bryn Mawr, PA 19010, USA ZHU, Weizhong, 33 Winterberry Court, Cockeysville, MD 21030, USA KHALILI, Kamel, 190 Presidential Boulevard 718, Bala Cynwyd, PA 19004, USA KOCH, Walter, J., 13 Kathryn Lane, Broomall, PA 19008, USA
(74)	Agent or Attorney	CURO AS, Vestre Rosten 81, 7075 TILLER, Norge

(54)	Title	BAG3 AS A TARGET FOR THERAPY OF HEART FAILURE
(56)	References Cited:	WO-A2-2010/138263 EP-A1- 1 323 733 HOMMA, S. ET AL.: 'BAG3 deficiency results in fulminant myopathy and early lethality.' THE AMERICAN JOURNAL OF PATHOLOGY vol. 169, no. 3, September 2006, pages 761 - 773, XP055329887

DUYGU SELCEN ET AL: "Mutation in BAG3 Causes Severe Dominant Childhood Muscular Dystrophy", ANNALS OF NEUROLOGY, JOHN WILEY AND SONS, BOSTON, US, vol. 65, no. 1, 1 January 2009 (2009-01-01), pages 83-89, XP002661988, ISSN: 0364-5134, DOI: 10.1002/ANA.21553

BEGAY, R ET AL.: 'ABSTRACT 15073:EXOME SEQUENCING IDENTIFIES BAG3 GENE MUTATION IN DILATED CARDIOMYOPATHY.' CIRCULATION vol. 128, no. 22 SUP, 2013, XP055357490

ODGEREL, Z. ET AL.: 'Inheritance patterns and phenotypic features of myofibrillar myopathy associated with a BAG3 mutation.' NEUROMUSCULAR DISORDERS vol. 20, no. 7, 2010, ISSN 0960-8966 pages 438 - 442, XP027104039

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. Ekspresjonsvektor som koder for et BCL2-assosiert athanogen-3-(BAG3)-polypeptid eller peptid for anvendelse i behandling av hjertesvikt eller risiko for hjertesvikt.
2. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge krav 1, hvori ekspresjonsvektoren omfatter en viral vektor, et plasmid eller en gjærvektor, hvori den virale vektoren omfatter en adenovirus-vektor, en adeno-assosiert virusvektor (AAV), en coxsackie-virusvektor, en cytomegalovirus-vektor, en Epstein-Barr virusvektor, en parvovirus-vektor eller en hepatitt-virusvektor.
3. AAV-ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge krav 2, hvori AAV-kapsid-serotypen er valgt fra gruppen bestående av AAV1, AAV2, AAV3, AAV4, AAV5, AAV6, AAV7, AAV8 og AAV9.
4. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge ett av kravene 1 til 3, hvori vektoren uttrykker BAG3-polypeptid eller peptid i hjertevev.
5. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge ett av kravene 1 til 4, hvori ekspresjonsvektoren øker ekspresjon av BAG3-polypeptid eller peptid i en celle eller et vev sammenliknet med en kontrollstandard.
6. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge ett av kravene 1 til 5, hvori hjertesvikten resulterer fra hjertesykdom, en virusinfeksjon, en skade eller en tumor.
7. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge krav 6, hvori hjertesykdommen er idiopatisk dilatativ kardiomyopati, idiopatisk dilatativ kardiomyopati forårsaket av en mutasjon i et BCL2-assosiert athanogen 3 (BAG3), hypertrofisk kardiomyopati, dilatativ kardiomyopati, aterosklerose, koronar arteriesykdom, iskemisk hjertesykdom, ikke-iskemisk hjertesykdom, myokarditt, hypertensiv hjertesykdom, sykdom i klaffene, medfødt hjertesykdom, myokardialt infarkt eller kongestiv hjertesvikt.
8. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge krav 7, hvori mutasjonen i et BCL2-assosiert athanogen 3 (BAG3) reduserer nivået av BCL2-assosiert athanogen-3-(BAG3)-protein.
9. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge krav 7, hvori hjertesykdommen er familiær dilatativ kardiomyopati.
10. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge krav 7, hvori hjertesykdommen er ikke-familiær dilatativ kardiomyopati.
11. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge ett av kravene 1 til 5, hvori hjertesvikten er hjertesvikt med redusert ejeksjonsfraksjon.

12. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge ett av kravene 1 til 5, hvori risikoen for hjertesvikt resulterer fra ikke-iskemisk kardiomyopati, iskemisk kardiomyopati, mitral ventil-tilbakestrømning, eller aortisk stenose eller tilbakestrømning.
13. Ekspresjonsvektor for anvendelse ifølge ett av kravene foran, hvori ekspresjonsvektoren
5 omfatter en farmasøytisk blanding.
14. Ekspresjonsvektoren for anvendelse ifølge ett av kravene foran, hvori ekspresjonsvektoren i tillegg omfatter en hjerte-spesifikk promotor flankert av én eller flere inverterte terminal-repeterende (ITR)-sekvenser.
15. Framgangsmåte for diagnostisering eller identifisering av en pasient med risiko for å utvikle
10 idiopatisk dilatativ kardiomyopati, hvilken framgangsmåte omfatter: måling av nivået av BCL2-assosiert athanogen 3 (BAG3)-polynukleotider eller polypeptider i en biologisk prøve framskaffet fra en pasient, hvori deteksjon av reduserte nivåer av BAG3 i den biologiske prøven, sammenliknet med normal frisk kontroll diagnostiserer en hjertesykdom eller -lidelse.