



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3103469 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 38/47 (2006.01)
A61K 9/00 (2006.01)
A61K 9/19 (2006.01)
A61K 38/46 (2006.01)
A61P 25/00 (2006.01)
A61P 25/28 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.04.26
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2020.12.09
(86)	European Application Nr.	16179150.4
(86)	European Filing Date	2011.06.25
(87)	The European Application's Publication Date	2016.12.14
(30)	Priority	2010.06.25, US, 358857 P 2010.07.01, US, 360786 P 2010.09.29, US, 387862 P 2011.01.24, US, 201161435710 P 2011.02.11, US, 201161442115 P 2011.04.15, US, 201161476210 P 2011.06.09, US, 201161495268 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
(62)	Divided application	EP2588130, 2011.06.25
(73)	Proprietor	Shire Human Genetic Therapies, Inc., 300 Shire Way, Lexington MA 02421, USA
(72)	Inventor	SHAHROKH, Zahra, 5 Terrace Road, Weston, MA Massachusetts 02493, USA CALIAS, Pericles, 39 Swains Pond Avenue, Melrose, MA Massachusetts 02176, USA MCCAULEY, Thomas, 85 Gore Street, Cambridge, MA Massachusetts 02141, USA POWELL, Jan, 560 Old Marlborough Road, Concord, MA Massachusetts 01742, USA PAN, Jing, 868 Depot Road, Boxborough, MA Massachusetts 01719, USA PFEIFER, Richard, 243 Silver Street, North Granby, CT Connecticut 06060, USA CHARNAS, Lawrence, 49 Mill Street, Natick, MA Massachusetts 01760, USA WRIGHT, Teresa Leah, 39 Earl Street, Lexington, MA Massachusetts 02142, USA
(74)	Agent or Attorney	OSLO PATENTKONTOR AS, Hoffsvæien 1A, 0275 OSLO, Norge

(54)	Title	CNS DELIVERY OF THERAPEUTIC AGENTS
(56)	References Cited:	US-A1- 2009 017 005 BELICHENKO P V ET AL: "Penetration, diffusion, and uptake of recombinant human alpha-l-iduronidase after intraventricular injection into the rat brain", MOLECULAR GENETICS AND METABOLISM, ACADEMIC PRESS, AMSTERDAM, NL, vol. 86, no. 1-2, 1 September 2005 (2005-09-01), pages 141-149, XP027518224, ISSN: 1096 -7192, DOI: 10.1016/J.YMGME.2005.04.013 [retrieved on 2005 -10-01] Shire: "Elaprase 2 mg/ml", , 1 January 2007 (2007-01-01), XP055301000, Retrieved from the Internet: URL:http://www.shire.de/-/media/shire/shireglobal/shiregermany/pdf/files/productinformation/fi-elaprase.pdf [retrieved on 2016-09-08] Zahra Shahrokh ET AL: "INTRATHECAL DELIVERY OF PROTEIN THERAPEUTICS TO TREAT GENETIC DISEASES INVOLVING THE CNS", Ondrugdelivery, 2 July 2010 (201007-02), pages 16-20, XP055074790, Retrieved from the Internet: URL:http://www.ondrugdelivery.com/publications/Injectable%20Formulations%202010/Shire.pdf [retrieved on 2013-08-09] W. C. LEE ET AL: "Single-dose intracerebroventricular administration of galactocerebrosidase improves survival in a mouse model of globoid cell leukodystrophy", THE FASEB JOURNAL, vol. 21, no. 10, 1 August 2007 (2007-08-01), pages 2520-2527, XP55074782, ISSN: 0892-6638, DOI: 10.1096/fj.06-6169com

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. Vandig farmasøytisk sammensetning omfattende et buffermiddel, en surfaktant og et toniseringsmiddel og som har en pH-verdi fra 5,5-6,5 for anvendelse ved behandling av en lysosomal lagringssykdom i et individ, hvor
5 sammensetningen omfatter et lysosomalt enzym i en konsentrasjon over ca. 10 mg/ml, hvor buffermidlet er fosfat og foreligger i en konsentrasjon opptil 20 mM, og hvor sammensetningen administreres intratekalt, intraventrikulært eller intracisternalt.
- 10 2. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge krav 1, hvor det lysosomale enzym foreligger i en konsentrasjon mellom 10-100 mg/ml.
3. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 eller 2, hvor det lysosomale enzym foreligger i en konsentrasjon
15 opptil 30 mg/ml.
4. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de forutgående krav, hvor surfaktanten er et polysorbat eller en poloksamer.
20
5. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge krav 4, hvor polysorbatet er polysorbat 20 eller 80.
6. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge krav 4, hvor
25 poloksameren er poloksamer 188.
7. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de forutgående krav, hvor surfaktanten foreligger i en konsentrasjon fra 0,001-0,5%.
30
8. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge krav 7, hvor surfaktanten foreligger i en konsentrasjon fra 0,005-0,05%.
9. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som
35 helst av de forutgående krav, hvor toniseringsmidlet er valgt fra natriumklorid, et sukker og mannitol.

10. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de forutgående krav, hvor sammensetningen er tilveiebrakt som enkelt-dosevolum på under 5 ml.
- 5 11. Vandig farmasøytisk sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de forutgående krav, hvor det lysosomale enzym er valgt fra iduronat-2-sulfatase (I2S), aarylsulfatase A (ASA), heparan N-sulfatase (HNS), alfa-N-acetylglukosaminidase (Naglu) og β -galaktosidase (GLC).