



(12) Translation of  
European patent specification

(11) NO/EP 3126499 B1

NORWAY

(19) NO  
(51) Int Cl.  
**C12N 15/113 (2010.01)**  
**A61K 31/713 (2006.01)**  
**A61K 48/00 (2006.01)**  
**A61P 25/28 (2006.01)**  
**C07H 21/02 (2006.01)**  
**C07H 21/04 (2006.01)**  
**C12N 15/11 (2006.01)**  
**C12Q 1/68 (2018.01)**

**Norwegian Industrial Property Office**

(45) Translation Published 2020.09.14  
(80) Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent 2020.06.24  
(86) European Application Nr. 15773965.7  
(86) European Filing Date 2015.04.01  
(87) The European Application's Publication Date 2017.02.08  
(30) Priority 2014.04.01, US, 201461973803 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 Biogen MA Inc., 225 Binney Street, Cambridge, MA 02142, USA  
(72) Inventor SWAYZE, Eric, E., 2855 Gazelle Court, Carlsbad, CA 92010, USA  
COLE, Tracy, 2855 Gazelle Court, Carlsbad, CA 92010, USA  
KORDASIEWICZ, Holly, 2855 Gazelle Court, Carlsbad, CA 92010, USA  
FREIER, Susan, M., 2855 Gazelle Court, Carlsbad, CA 92010, USA  
CONDON, Thomas, P., 35 Mandalay Road7-37, 308215, Singapore  
WANCEWICZ, Edward, 2855 Gazelle Court, Carlsbad, CA 92010, USA  
LOCKHART, Trisha, 620 Randolph Avenue, Mukilteo, WA 98275, USA  
VICKERS, Timothy, 2855 Gazelle Court, Carlsbad, CA 92010, USA  
SINGH, Priyam, 2544 Navarra DriveApt. 18, Carlsbad, CA 92009, USA  
(74) Agent or Attorney Orsnes Patent ApS, Forskerparken 10, 5230 ODENSE, Danmark

---

(54) Title **COMPOSITIONS FOR MODULATING SOD-1 EXPRESSION**

(56) References  
Cited: US-A1- 2013 323 836  
US-A1- 2009 130 195  
US-A1- 2013 053 430

WO-A2-2007/092182

WO-A2-2009/102427

US-A1- 2007 054 869

SMITH, RA ET AL.: 'Antisense Oligonucleotide Therapy For Neurodegenerative Disease.' THE JOURNAL OF CLINICAL INVESTIGATION., [Online] vol. 116, no. 8, August 2006, ISSN 0021-9738 pages 2290 - 2296, XP055163197 ISSN: 0021-9738 Retrieved from the Internet: <URL:<http://dx.doi.org/10.1172/JCI25424>.>

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. Antisense-forbindelse ifølge følgende formel:

mCes Aeo Ges Geo Aes Tds Ads mCds Ads Tds Tds Tds mCds Tds Ads mCeo Aes  
Geo mCes Te (nukleobasesekvens ifølge SEQ ID NO: 725)

hvor,

A = et adenin,

mC = et 5-metylcytosin,

G = et guanin,

T = en timian,

e = et 2'-O-metoksyetylribosemodifisert sukker,

d = et 2'-deoksyribosesukker,

s = en fosfortioatinternukleosidbinding, og

o = en fosfodiesterinternukleosidbinding;

eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav.

### 2. Antisense-forbindelsen ifølge krav 1.

### 3. Det farmasøytisk akseptable saltet av antisense-forbindelsen ifølge krav 1.

### 4. Farmasøytisk sammensetning omfattende antisense-forbindelsen eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge krav 1, antisense-forbindelsen ifølge krav 2 eller det farmasøytisk akseptable saltet ifølge krav 3, og minst én av en farmasøytisk akseptabel bærer eller fortynningsmiddel.

### 5. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 4, hvor det farmasøytisk akseptable fortynningsmidlet er fosfatbufret saltvann.

### 6. Antisense-forbindelsen eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge krav 1, antisense-forbindelsen ifølge krav 2, det farmasøytisk akseptable saltet ifølge krav 3 eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 4 eller 5, for anvendelse i et humant individ.

7. Antisense-forbindelsen eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge krav 1, antisense-forbindelsen ifølge krav 2, det farmasøytisk akseptable saltet ifølge krav 3 eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 4 eller 5, for anvendelse i behandling av en SOD-1-forbundet sykdom.
8. Antisense-forbindelsen eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge krav 1, antisense-forbindelsen ifølge krav 2, det farmasøytisk akseptable saltet ifølge krav 3, eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 4 eller 5, for anvendelse i forhindring av en SOD-1-tilknyttet sykdom.
9. Antisense-forbindelsen, det farmasøytisk akseptable saltet eller den farmasøytiske sammensetningen for anvendelsen ifølge krav 7 eller 8, hvori den SOD-1-tilknyttede sykdommen er en nevrodegenerativ lidelse.
10. Antisense-forbindelsen, det farmasøytisk akseptable saltet eller den farmasøytiske sammensetningen for anvendelsen ifølge krav 7 eller 8, hvori den SOD-1-tilknyttede sykdommen er amyotrofisk lateral sklerose.