



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3133160 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12N 15/113 (2010.01)

Norwegian Industrial Property Office

(21)	Translation Published	2019.05.13
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2018.12.12
(86)	European Application Nr.	16172354.9
(86)	European Filing Date	2009.10.23
(87)	The European Application's Publication Date	2017.02.22
(30)	Priority	2008.10.24, US, 108416 P
(84)	Designated Contracting States:	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 ; SE ; SI ; SK ; SM ; TR
(73)	Proprietor	Sarepta Therapeutics, Inc., 215 First Street, Cambridge, MA 02142, USA
(72)	Inventor	SAZANI, Peter, 12809 NE 201st. Place, Bothell, WA 98011, USA KOLE, Ryszard, c/o Sarepta Therapeutics215 First Street, Cambridge, MA 02142, USA
(74)	Agent or Attorney	TANDBERG INNOVATION AS, Postboks 1570 Vika, 0118 OSLO, Norge

(54)	Title	EXON SKIPPING COMPOSITIONS FOR DMD
(56)	References Cited:	WO-A1-2006/000057

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

- 5 **1.** Antisenseoligonukleotid som inneholder 20-35 morfolinounderenheter forbundet med
underenhet til et 5'-eksosyklisk karbon til en tilstøtende underenhet, som omfatter en
basesekvens ifølge SEQ ID NO: 382, eller en sekvens som har minst 80 %
sekvensidentitet derav, der tyminbaser eventuelt er uracilbaser, og hvori
10 antisenseoligonukleotidet er komplementært til human dystrofin-pre-mRNA for å
indusere ekson-52-hopping; eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav.
- 15 **2.** Antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge krav 1,
hvori antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav inneholder
20-25 morfolinounderenheter.
- 15 **3.** Antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge krav 1
eller krav 2, som har uracilbaser (U) i stedet for tyminbaser (T).
- 20 **4.** Antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge ett av
kravene 1-3, som omfatter en 5-metylcytosinbase.
- 25 **5.** Antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge kravene
1-4, hvori oligonukleotidet konjugeres til en polyetylenglykolkjede.
- 25 **6.** Antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge kravene
1-4, hvori oligonukleotidet konjugeres til en trietylenglykoldel.
- 30 **7.** Antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge kravene
1-4, hvori oligonukleotidet konjugeres til en polyetylenglykolkjede forbundet via en
substituert piperazinyldel.
- 30 **8.** Antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge kravene
1-4, hvori antisenseoligonukleotidet konjugeres til en trietylenglykoldel forbundet via en
substituert piperazinyldel.
- 35 **9.** Farmasøytisk sammensetning som omfatter antisenseoligonukleotidet eller det
farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge ett av de foregående kravene og en

farmasøytisk akseptabel bærer og/eller fortynningsmiddel.

- 5 **10.** Antisenseoligonukleotidet eller det farmasøytisk akseptable saltet derav ifølge ett av kravene 1 til 8, eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 9, for anvendelse i behandlingen av muskeldystrofi.
- 10 **11.** Antisenseoligonukleotidet eller den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse ifølge krav 10, hvori muskeldystrofien er Duchenne-muskeldystrofi (DMD).
- 10 **12.** Antisenseoligonukleotidet eller den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse ifølge krav 10, hvori muskeldystrofien er Becker-muskeldystrofi (BMD).