



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3139949 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 38/22 (2006.01)
A61K 31/404 (2006.01)
A61K 31/443 (2006.01)
A61K 38/39 (2006.01)
A61P 11/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2020.11.16
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2020.07.29
(86)	European Application Nr.	15789718.2
(86)	European Filing Date	2015.05.08
(87)	The European Application's Publication Date	2017.03.15
(30)	Priority	2014.05.08, US, 201461990425 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	Phasebio Pharmaceuticals, Inc., One Great Valley Parkway Suite 30, Malvern, Pennsylvania 19355-1423, USA
(72)	Inventor	ARNOLD, Susan, c/o PHASEBIO PHARMACEUTICALS INC. One Great Valley Parkway Suite 30, Malvern, Oregon 19355-1423, USA BALLANCE, David James, c/o PHASEBIO PHARMACEUTICALS INC. One Great Valley Parkway Suite 30, Malvern, Pennsylvania 19355-1423, USA
(74)	Agent or Attorney	TANDBERG INNOVATION AS, Postboks 1570 Vika, 0118 OSLO, Norge

(54)	Title	COMPOSITIONS COMPRISING A VIP-ELP FUSION PROTEIN FOR USE IN TREATING CYSTIC FIBROSIS
(56)	References Cited:	US-A1- 2010 256 044 US-A1- 2011 178 017 US-A1- 2014 073 667 US-A1- 2014 088 141 TOMASZ KOWALCZYK ET AL: "Elastin-like polypeptides as a promising family of genetically-engineered protein based polymers", WORLD JOURNAL OF MICROBIOLOGY AND BIOTECHNOLOGY., vol. 30, no. 8, 4 April 2014 (2014-04-04), pages 2141-2152, XP055412797, GB ISSN: 0959-3993, DOI: 10.1007/s11274-014-1649-5 S. RAFFERTY ET AL: "Rescue of Functional F508del Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator by Vasoactive Intestinal Peptide in the Human Nasal Epithelial Cell Line JME/CF15", JOURNAL OF PHARMACOLOGY AND EXPERIMENTAL THERAPEUTICS, vol. 331, no. 1, 7 July 2009 (2009-07-07), pages 2-13, XP055412806, US ISSN: 0022-3565, DOI:

10.1124/jpet.109.155341

MOW ET AL.: 'PhaseBio Pharmaceuticals Inc', [Online] June 2013, pages 1 - 28, XP008185906
Retrieved from the Internet: <URL:HTTP://PHASEBIO.COM/WP-CONTENT/UPLOADS
/2013/12/PHASEBIO-NONCON-JEFFERIES-PRESENTATION-2013.PDF> [retrieved on 2015-
08-07]

FREE ET AL.: 'A Phase 1, Multi-center, Randomized, Double-blind, Placebo Controlled Study to
Evaluate the Safety/Tolerability, Pharmacokinetic and Hemodynamic Response Following Single
Ascending Subcutaneous Doses of PB1046 (Vasomera?) in Subjects with Essential
Hypertension (Trial Registry No. NCT01523067' PHASEBIO PHARMACEUTICALS November
2014, page 1, XP055360492 Retrieved from the Internet: <URL:http://phasebio.com/wp-
content/uploads/2014/12/AHA-Presentation-FINAL-V1-12NOV2014.pdf> [retrieved on 2015-
08-07]

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. En farmasøytisk sammensetning som omfatter et fusjonsprotein som omfatter et Vasoaktivt intestinalt Peptid (VIP) og ett eller flere elastin-lignende peptider (ELP) som omfatter repeterte enheter av en hvilket som helst av SEQ ID Nos: 1-13 for anvendelse ved behandling av cystisk fibrose eller ved behandling av en sykdom eller lidelse assosiert med nedsatt CFTR-proteinfunksjon.
2. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til krav 1, hvor the ELP omfatter 120 repeterte enheter av VPGXG (SEQ ID NO:3), hvor X er uavhengig valgt fra Val, Ala, og Gly, eventuelt hvor X er uavhengig valgt fra Val, Ala, og Gly i i et forhold på omtrent 5:2:3.
3. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til krav 1 eller 2, hvor VIP-peptidet har en relativ bindingspreferanse for VPAC2 over VPAC1, eller hvor VIP-peptidet har en forholdsvis ekvipotent bindingspreferanse for VPAC2 og VPAC1.
4. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til et hvilket som helst av kravene 1 til 3, hvor den farmasøytiske sammensetningen er formulert for subkutan, intramuskulær, eller intravenøs administrering, eller for vedvarende frigjøring.
5. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til krav 4, hvor den farmasøytiske sammensetningen blir administrert subkutant eller systemisk.
6. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til et hvilket som helst av de foregående kravene, hvor den farmasøytiske sammensetningen omfatter SEQ ID NO: 15 eller SEQ ID NO: 20.
7. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til et hvilket som helst av de foregående kravene, hvor den farmasøytiske sammensetningen blir administrert med én eller flere ytterligere cystisk fibrose terapier eller terapier lidelser assosiert med nedsatt CFTR-proteinfunksjon.
8. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til krav 7, hvor den ene eller flere ytterligere cystisk fibrose terapiene er valgt fra gruppen bestående av Cystisk Fibrose Transmembran Konduktans Regulator (CFTR)-potensatorer, CFTR-korrektorer, nonsens-mutasjon gjennomlesnings-midler, CFTR-produksjons-korrektorer, gjennomlesnings-midler, småmolekylære ionekanal-midler, osmotiske midler, gen-terapi,

RNA-reparasjon, løselig Iguanylat-syklase stimulatorer, S-nitrosoglutation-reduktase inhibitorer, DNase, antibiotika, antimykotika, mukolytika, bronkodilaterende midler, nitrogenoksid, antikolinergiske midler, ikke-steroid antiinflammatoriske legemidler (NSAID-er), membranstabilisatorer, kortikosteroider, og enzym-erstatningsterapi.

5

9. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til krav 8, hvor CFTR-potensatoren er valgt fra gruppen bestående av ivakaftor (VX-770) og QBW251, eller hvor CFTR-korrektoren er valgt fra gruppen bestående av lumakaftor (VX-809) og VX-661.

10

10. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til et hvilket som helst av de foregående kravene, hvor pasienten har én eller flere mutasjoner i et CFTR-gen, hvor pasienten er homozygot eller heterozygot for den ene eller de flere mutasjon(e) i CFTR-genet.

15

11. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til krav 10, hvor pasienten har en F508del-mutasjon.

20

12. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til et hvilket som helst av de foregående kravene, hvor pasienten ikke har en mutasjon i CFTR-genet.

13. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til krav 12, hvor pasienten har Kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS).

25

14. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til et hvilket som helst av de foregående kravene, hvor administreringen av den farmasøytiske sammensetningen øker CFTR-proteinfunksjon i pasientens celler sammenlignet med CFTR-proteinfunksjon i en ubehandlet pasient.

30

15. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse i henhold til krav 14, hvor administreringen av den farmasøytiske sammensetningen øker ion-utstrømnings-hastigheter i pasientens celler sammenlignet med ion-utstrømningshastigheter i en ubehandlet pasient, øker pasientens respiratorisk funksjon sammenlignet med den respiratoriske funksjonen til en ubehandlet pasient, eller reduserer kloridkonsentrasjon i svette hos en pasient sammenlignet med kloridkonsentrasjonen i svette hos en ubehandlet pasient.

35