



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3159409 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/712 (2006.01)
A61K 31/7088 (2006.01)
A61P 21/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2020.02.10
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2019.12.04
(86)	European Application Nr.	15810097.4
(86)	European Filing Date	2015.06.16
(87)	The European Application's Publication Date	2017.04.26
(30)	Priority	2014.06.17, JP, 2014124157
(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	Nippon Shinyaku Co., Ltd., 14, Kisshoin Nishinosho Monguchicho Minami-ku, Kyoto-shiKyoto 601-8550, Japan National Center of Neurology and Psychiatry, 4-1-1, Ogawa-Higashi-cho, Kodaira- shiTokyo 187-8551, Japan
(72)	Inventor	WATANABE Naoki, c/o NIPPON SHINYAKU CO. LTD.14-1 Sakura 3-chome, Tsukuba-shiIbaraki 305-0003, Japan TONE Yuuichirou, c/o NIPPON SHINYAKU CO. LTD.14-1 Sakura 3-chome, Tsukuba-shiIbaraki 305-0003, Japan TAKEDA Shin'ichi, c/o NATIONAL CENTER OF NEUROLOGYAND PSYCHIATRY1-1 Ogawahigashi-cho 4-chome, Kodaira-shiTokyo 187-8551, Japan NAGATA Tetsuya, c/o NATIONAL CENTER OF NEUROLOGYAND PSYCHIATRY1-1 Ogawahigashi-cho 4-chome, Kodaira-shiTokyo 187-8551, Japan
(74)	Agent or Attorney	BRYN AARFLOT AS, Stortingsgata 8, 0161 OSLO, Norge

(54)	Title	ANTISENSE NUCLEIC ACID FOR USE IN THE TREATMENT OF DUCHENNE'S MUSCULAR DYSTROPHY
------	-------	---

(56)	References Cited:	WO-A1-2006/000057 WO-A1-2010/123369 JP-A- 2008 220 311 WO-A2-2009/054725 WO-A1-2012/029986 WO-A1-2013/100190
------	----------------------	---

WO-A2-2004/083446

WO-A2-2014/007620

EP-A1- 2 612 917

WO-A1-2010/048586

WO-A1-2011/057350

WO-A1-2012/109296

WO-A1-2013/112053

TETSUYA NAGATA ET AL.: 'Kin Dystrophy no Idenshi Chiryō' CURR. INSIGHTS NEUROL.

SCI. vol. 19 / 20, 2013, pages 20 - 21, XP008185866

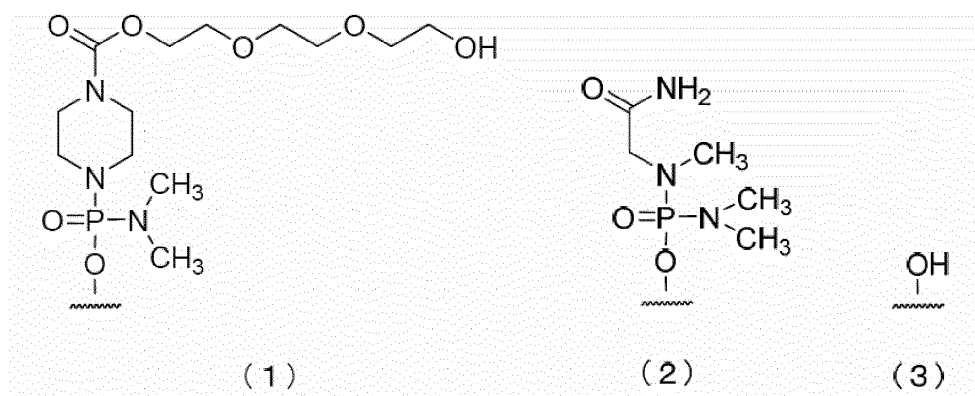
AARTSMA-RUS A ET AL: "Antisense-Induced Multiexon Skipping for duchenne Muscular Dystrophy Makes More Sense", AMERICAN JOURNAL OF HUMAN GENE, AMERICAN SOCIETY OF HUMAN GENETICS, CHICAGO, IL, US, vol. 74, no. 1, 1 January 2004 (2004-01-01), pages 83-92, XP008084158, ISSN: 0002-9297

SHIN'ICHI TAKEDA: 'Exon Skipping Approach to Duchenne Muscular Dystrophy' SOCIETAS NEUROLOGICA JAPONICA GAKUJUTSU TAIKAI PROGRAM SHOROKUSHU vol. 55, May 2014, page 269, XP055244924

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-oligomer som består av en nukleotidsekvens valgt fra en gruppe bestående av SEKV ID NR 6 til 9, og som induserer hopping av exon 44 over humant dystrofingen, eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav.
2. Antisense-oligomer ifølge krav 1, som er et oligonukleotid, eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav.
3. Antisense-oligomer ifølge krav 2, hvor sukkerdelen og/eller fosfatbindingsregionen til minst ett nukleotid som utgjør oligonukleotidet modifiseres, eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav.
4. Antisense-oligomer ifølge krav 2 eller 3, hvor sukkerdelen til minst ett nukleotid som utgjør oligonukleotidet er en ribose der 2'-OH-gruppen er erstattet av en hvilken som helst valgt fra gruppen bestående av OR, R, R'OR, SH, SR, NH₂, NHR, NR₂, N₃, CN, F, Cl, Br og I (hvor R er et alkyl eller et aryl og R' er et alkylen), eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav.
5. Antisense-oligomer ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 4, hvor fosfatbindingsområdet til minst ett nukleotid som utgjør oligonukleotidet er hvilket som helst valgt fra gruppen bestående av en fosfortioatbinding, en fosforditioatbinding, en alkylfosfonatbinding, en fosforamidatbinding og en boranfosfatbinding, eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav.
6. Antisense-oligomer ifølge krav 1 eller 2, som er en morfolinoligomer, eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav.
7. Antisense-oligomer ifølge krav 6, som er en fosforamidat-morfolinoligomer, eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav.
8. Antisense-oligomer ifølge krav 6 eller 7, hvor 5'-enden er en hvilken som helst av kjemiske formler (1) til (3) nedenfor, eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav:



- 5 9. Farmasøytisk sammensetning for behandling av muskeldystrofi omfattende
som aktiv bestanddel antisense-oligomeren ifølge hvilket som helst av kravene 1 til 8,
eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav.
- 10 10. Farmasøytisk sammensetning ifølge krav 9, som videre omfatter en
farmasøytisk akseptabel bærer.
- 15 11. Antisense-oligomer eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav
ifølge hvilket som helst av kravene 1 til 8 for anvendelse i behandlingen av
muskeldystrofi.
12. Antisense-oligomer eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller hydrat derav for
anvendelse ifølge krav 11, hvor pasienten med muskeldystrofi i nevnte behandling har
en mutasjon(er) som skal målsøkes for exon 44 hopping over dystrofingen.