



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3205351 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl. *A61P 1/00 (2006.01)*
A61K 38/46 (2006.01) *A61P 1/16 (2006.01)*
A01K 67/027 (2006.01) *A61P 3/00 (2006.01)*
A61K 31/135 (2006.01) *A61P 3/06 (2006.01)*
A61K 31/194 (2006.01) *A61P 9/00 (2006.01)*
A61K 31/366 (2006.01) *A61P 35/04 (2006.01)*
A61K 31/397 (2006.01) *A61P 43/00 (2006.01)*
A61K 38/38 (2006.01) *C12N 9/20 (2006.01)*

Norwegian Industrial Property Office

(45) Translation Published 2023.08.14

(80) Date of The European
Patent Office Publication of
the Granted Patent 2023.04.12

(86) European Application Nr. 17158770.2

(86) European Filing Date 2011.04.23

(87) The European Application's
Publication Date 2017.08.16

(30) Priority 2010.04.23, US, 343177 P
2010.05.26, US, 396376 P
2010.09.09, US, 403011 P
2010.10.29, US, 456014 P
2011.01.13, US, 201161432372 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 EP2561069, 2011.04.23

(73) Proprietor Alexion Pharmaceuticals, Inc., 121 Seaport Boulevard, Boston, MA 02210, USA

(72) Inventor QUINN, Anthony, 21 Fort Hill Avenue, Gloucester, MA 01930, USA
HARVEY, Alex, 160 Fox Trce., Athens, GA 30606, USA

(74) Agent or Attorney ZACCO NORWAY AS, Postboks 488, 0213 OSLO, Norge

(54) Title **LYSOSOMAL STORAGE DISEASE ENZYME**

(56) References
Cited: WO-A1-01/56596, WO-A1-2012/112681, US-A1- 2009 178 147
US-A1- 2009 297 496, US-A1- 2010 062 982
IKEDA S ET AL: "Production of recombinant human lysosomal acid lipase in
Schizosaccharomyces pombe: Development of a fed-batch fermentation and purification
process", JOURNAL OF BIOSCIENCE AND BIOENGINEERING, ELSEVIER, AMSTERDAM,
NL, vol. 98, no. 5, January 2004 (2004-01), pages 366-373, XP004695391, ISSN: 1389-1723

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 isolert rekombinant human lysosomal syrelipase (rhLAL), hvor rhLAL-en har en aminosyre sekvens valgt fra gruppen bestående av SEKV ID NR: 2, SEKV ID NR: 3, SEKV ID NR:4 og SEKV ID NR: 19, med N-glykaner bundet til asparaginrestene (Asn) som svarer til Asn³⁶, Asn¹⁰¹, Asn¹⁶¹, Asn²⁷³ og Asn³²¹ av SEKV ID NR: 1, hvor rhLAL-en ikke inneholder O-glykaner, og hvor N-glykanene bundet til Asn-restene som svarer til SEKV ID NR: 1 er:
- a) ved Asn³⁶, GlcNAc4Man3GlcNAc2, eller Gal1GlcNAc4Man3GlcNAc2;
 - 10 b) ved Asn⁷², ingen glykosylering;
 - c) ved Asn¹⁰¹, Phos2Man7GlcNAc2;
 - d) ved Asn¹⁶¹, Phos1Man6GlcNAc2, GlcNAc1Phos1Man6GlcNAc2; Man3GlcNAc2;
 - 15 GlcNAc2Man3GlcNAc2; GlcNAc3Man3GlcNAc2; GlcNAc4Man3GlcNAc2, eller Gal1GlcNAc4Man3GlcNAc2;
 - e) ved Asn²⁷³, Man7GlcNAc2, Man8 GlcNAc2, Man9GlcNAc2, Phos1Man8GlcNAc2, eller Phos1Man9GlcNAc2; og
 - 20 f) ved Asn³²¹, GlcNAc2Man3GlcNAc2, GlcNAc3Man3 GlcNAc2, GlcNAc4Man3 GlcNAc2, Gal1GlcNAc4Man3GlcNAc2, GlcNAc5Man3GlcNAc2, Gal1GlcNAc5Man3 GlcNAc2,
 - 25 GlcNAc6Man3GlcNAc2, eller Gal1GlcNAc6Man3GlcNAc2; hvor Man = mannose, GlcNAc = N-acetylglukosamin
 - 30

Phos = fosfat, og

Gal = galaktose.

- 5 **2.** RhLAL-en ifølge krav 1, hvor aminosyresekvensen av nevnte rhLAL er SEKV
ID NR: 2.
- 3.** RhLAL-en ifølge krav 1, hvor aminosyresekvensen av nevnte rhLAL er SEKV
ID NR: 3.
- 10 **4.** RhLAL-en ifølge krav 1, hvor aminosyresekvensen av nevnte rhLAL er SEKV
ID NR: 4.
- 5.** RhLAL-en ifølge krav 1, hvor aminosyresekvensen av nevnte rhLAL er SEKV
ID NR: 19.
- 15 **6.** RhLAL-en ifølge ett av kravene 1-5, produsert ved en prosess som omfatter
å uttrykke nevnte rhLAL i egglederen til en fugl.
- 7.** RhLAL-en ifølge krav 6, hvor rhLAL-en er produsert i egglederceller fra en
20 kylling.
- 8.** En farmasøytisk sammensetning som omfatter rhLAL i henhold til et hvilket
som helst av kravene 1-7 i en formulering som videre omfatter farmasøytisk
akseptable bærere.