



(12) Translation of new
European patent specification
After opposition procedure

(11) NO/EP 3262066 B2

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.

C07K 14/47 (2006.01)

C12N 9/64 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2018.07.02
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2018.02.07
(45)	Decision of the opposition in EPO	2023.06.07
	Decision of the opposition in NIPO	2023.09.18
(86)	European Application Nr.	16788764.5
(86)	European Filing Date	2016.10.27
(87)	The European Application's Publication Date	2018.01.03
(30)	Priority	2015.10.28, GB, 201519086
(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	Syncona IP Holdco Limited, 8 Bloomsbury Street, London WC1B 3SR, Storbritannia
(72)	Inventor	GROENDAHL, Christian, 17 The Brass Building Aberdeen Square, Cambridge Cambridgeshire CB2 8BZ, Storbritannia FUNNELL, Tim, Syncona Management LLP Gibbs Building 215 Euston Road, London NW1 2BE, Storbritannia HOLLOWOOD, Chris, Syncona Management LLP Gibbs Building 215 Euston Road, London NW1 2BE, Storbritannia
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54) Title **GENE THERAPY**

(56) References
Cited:

WO-A1-2014/172560, WO-A1-2014/207190, US-A1- 2014 234 275,
M T BIRKE ET AL: "AAV-mediated expression of human PRELP inhibits complement activation,
choroidal neovascularization and deposition of membrane attack complex in mice", GENE
THERAPY, vol. 21, no. 5, 27 March 2014 (2014-03-27) , pages 507-513, XP055336523, GB
ISSN: 0969-7128, DOI: 10.1038/gt.2014.24
ANDERSON D H ET AL: "The pivotal role of the complement system in aging and age-related
macular degeneration: Hypothesis re-visited", PROGRESS IN RETINAL AND EYE RESEARCH,
OXFORD, GB, vol. 29, no. 2, 1 March 2010 (2010-03-01), pages 95-112, XP026929884, ISSN:
1350-9462, DOI: 10.1016/J.PRETEYERES.2009.11.003 [retrieved on 2009-12-02]

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. Adenoassosiert virusvektorpartikkel (AAV-vektorpartikkel) som omfatter en nukleotidsekvens som koder for faktor I eller et fragment derav, hvori fragmentet er i stand til å spalte C3b til iC3b, hvori AAV-vektorpartikkelen omfatter et AAV2-genom og AAV2-kapsidproteiner, et AAV2-genom og AAV5-kapsidproteiner eller et AAV2-genom og AAV2-kapsidproteiner.
5
2. AAV-vektorpartikkelen ifølge krav 1, hvori nukleotidsekvensen som koder for faktor I eller fragmentet derav, omfatter en sekvens valgt fra gruppen som består av:
10 (a) en nukleotidsekvens som koder for en aminosyresekvens som har minst 70 % identitet med SEQ ID NO: 1;
(b) en nukleotidsekvens som har minst 70 % identitet med SEQ ID NO: 2; og
(c) nukleotidsekvensen av SEQ ID NO: 2.
15
3. AAV-vektorpartikkelen ifølge krav 1 eller 2, hvori AAV-vektorpartikkelen omfatter et AAV2-genom og AAV2-kapsidproteiner.
4. AAV-vektorpartikkelen ifølge ett foregående krav, hvori nukleotidsekvensen som koder for faktor I eller fragmentet derav, er operativt koblet til en CAG-promotor, fortrinnsvis en promotor med nukleotidsekvensen ifølge SEQ ID NO: 5.
20
5. Isolert celle transfektert med og som omfatter AAV-vektorpartikkelen ifølge ett av kravene 1-4.
25
6. Farmasøytisk sammensetning som omfatter AAV-vektorpartikkelen ifølge ett av kravene 1-4 eller den isolerte cellen ifølge krav 5 i kombinasjon med en farmasøytisk akseptabel bærer, fortynningsmiddel eller ekspiens.
7. AAV-vektorpartikkelen, den isolerte cellen eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge ett av kravene 1-6 for anvendelse ved behandling eller forebygging av en komplementmediert forstyrrelse i øyet, hvori forstyrrelsen er aldersrelatert makuladegenerasjon (AMD), og hvori AAV-vektorpartikkelen, den isolerte cellen eller den farmasøytiske sammensetningen administreres intraokulært.
30
35
8. AAV-vektorpartikkelen, den isolerte cellen eller den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse ifølge krav 7, hvori AMD er tørr AMD.

9. AAV-vektorpartikkelen, den isolerte cellen eller den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse ifølge krav 7 eller 8, hvori AAV-vektorpartikkelen, den isolerte cellen eller den farmasøytiske sammensetningen administreres til øyet til et individ øye ved subretinal, direkte retinal, suprakoroid eller intravitreal injeksjon.

5

10. AAV-vektorpartikkelen, den isolerte cellen eller den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse ifølge ett av kravene 7–9, hvori AAV-vektorpartikkelen, den isolerte cellen eller den farmasøytiske sammensetningen administreres til øyet til et individ ved subretinal injeksjon.