



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3290046 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 38/57 (2006.01)
A61K 9/00 (2006.01)
A61K 9/08 (2006.01)
A61K 47/02 (2006.01)
A61K 47/12 (2006.01)
A61K 47/18 (2017.01)
A61P 5/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(21)	Translation Published	2019.05.06
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2019.01.02
(86)	European Application Nr.	17177676.8
(86)	European Filing Date	2014.03.17
(87)	The European Application's Publication Date	2018.03.07
(30)	Priority	2013.03.15, US, 201361791399 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	EP2968434, med inndato 2014.03.17
(73)	Proprietor	Shire Viropharma Incorporated, 300 Shire Way, Lexington, MA 02421, USA
(72)	Inventor	GALLAGHER, Cynthia, 730 Stockton Drive, Exton, PA 19341, USA RUDDY, Stephen, 730 Stockton Drive, Exton, PA 19341, USA MANNING, Mark Cornell, 4630 Sorrel Lane, Johnstown, CO 80534-6404, USA
(74)	Agent or Attorney	OSLO PATENTKONTOR AS, Postboks 7007 M, 0306 OSLO, Norge

(54)	Title	C1-INH COMPOSITIONS AND METHODS FOR THE PREVENTION AND TREATMENT OF DISORDERS ASSOCIATED WITH C1 ESTERASE INHIBITOR DEFICIENCY
(56)	References Cited:	AGOSTONI A ET AL: "Hereditary and acquired angioedema: Problems and progress: Proceedings of the third C1 esterase inhibitor deficiency workshop and beyond", JOURNAL OF ALLERGY AND CLINICAL IMMUNOLOGY, ELSEVIER, AMSTERDAM, NL, vol. 114, no. 3, 1 September 2004 (2004-09-01), pages S51-S131, XP004542228, ISSN: 0091-6749, DOI: 10.1016/J.JACI.2004.06.047, J. SCHRANZ: "Abstract AB369: Safety, Pharmacokinetics (PK),

and Pharmacodynamics (PD) of Subcutaneous (SC) Cinryze (C1 inhibitor (C1 INH) with Recombinant Human Hyaluronidase (rHuPH20) in Subjects with Hereditary Angioedema (HAE)", J ALLERGY CLIN IMMUNOL, vol. 129, no. 2, 1 February 2012 (2012-02-01), XP055344284,, I. MARTINEZ-SAGUER ET AL.: "Abstract AB104: Pharmacokinetic Berinert P Study Of Subcutaneous Versus Intravenous Administration In Subjects With Moderate Hereditary Angioedema - The Passion Study", JOURNAL OF ALLERGY & CLINICAL IMMUNOLOGY, vol. 127, 1 February 2011 (2011-02-01), XP055344297,, WO-A1-2011/116291, WO-A2-2013/013017, RICHARD G GOWER ET AL: "Hereditary Angioedema Caused By C1-Esterase Inhibitor Deficiency: A Literature-Based Analysis and Clinical Commentary on Prophylaxis Treatment Strategies", WORLD ALLERGY ORGANIZATION JOURNAL, BIOMED CENTRAL LTD, LONDON, UK, vol. 4, no. Suppl 2, 15 February 2011 (2011-02-15), pages S9-S21, XP021145942, ISSN: 1939-4551, DOI: 10.1097/1939-4551-4-S2-S9

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/>

NO/EP3290046

Patentkrav

NO/EP3290046

1. Sammensetning omfattende minst en C1-esteraseinhibitor hvor den minst ene C1-esteraseinhibitor er til stede ved 400U/ml eller mer for anvendelse ved behandling, inhibering eller forebygging av arvelig angioødem (HAE) og hvor
5 sammensetningen administreres subkutant, hvor sammensetningen omfatter fosfat.
2. Sammensetning for anvendelse ifølge krav 1, hvor sammensetningen omfatter natriumfosfatbuffer, eventuelt hvor sammensetningen omfatter 5 mM til
10 50 mM natriumfosfat, 10 mM til 30 mM natriumfosfat eller 20 mM natriumfosfat.
3. Sammensetning for anvendelse ifølge krav 1 eller 2, hvor den minst ene C1-esteraseinhibitor er til stede ved opptil 500 U/ml.
- 15 4. Sammensetning ifølge et hvilket som helst av kravene 1-3, hvor den minst ene C1-esteraseinhibitor administreres i en dose fra 500 enheter til 5000 enheter, 1000 enheter til 3500 enheter, eller 1500 enheter til 2500 enheter.
5. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående
20 krav, hvor den minst ene C1-esteraseinhibitor administreres daglig, hver andre dag, hver tredje dag, en gang i uken, to ganger i uken eller tre ganger i uken.
6. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor individet administreres en høy initialdose av den minst ene C1-
25 esteraseinhibitor, etterfulgt av lavere opprettholdelsesdoser, eventuelt hvor den høye initialdosen er minst 1,5, 2, 3, 4 eller 5 ganger de påfølgende doser, og/eller den høye initialdosen administreres intravenøst og den minst ene C1-esteraseinhibitor administreres deretter subkutant.
- 30 7. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor administrasjonen av den minst ene C1-esteraseinhibitor fører til økte nivåer av C1-esteraseinhibitor i individets blod, hvor blodnivåene av C1-esteraseinhibitor er økt til minst 0,3 U/ml, 0,4 U/ml eller opptil 1 U/ml.
- 35 8. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor blodnivåene av C1-esteraseinhibitor holdes ved eller over 0,4 U/ml i minst 50%, minst 75%, minst 90% eller minst 95% av tiden.

9. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor:

- 5 i. det arvelige angioødemet er Type I eller Type II HAE,
- ii. administrasjon av den minst ene C1-esteraseinhibitoren resulterer i HAE-profylaktisk behandling,
- iii. behandling av HAE resulterer i minst en reduksjon i alvorlighetsgraden og/eller antall HAE-angrep, eller
- 10 iv. administrasjonen av den minst ene C1-esteraseinhibitoren resulterer i behandling av et HAE-angrep.

10. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor den minst ene C1-esteraseinhibitoren er isolert eller rensset fra humant plasma eller rekombinant-fremstilt, og/eller

- 15 hvor den minst ene C1-esteraseinhibitoren har en aminosyresekvens minst 90%, 95%, 98%, 99% eller 100% identisk med den humane C1-esteraseinhibitor-aminosyresekvens av Figur 1.

11. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-10, 20 omfattende en buffer hvor bufferen ikke inneholder citrat eller sitronsyre.

12. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor sammensetningen:

- 25 i. omfatter minst én aminosyre eller salt derav; og / eller
- ii. har en pH mellom 6,5 og 8,0.

13. Sammensetning for anvendelse ifølge et hvilket som helst av de foregående krav, hvor sammensetningen dannes fra en lyofilisert form ved rekonstitusjon i en buffer før administrering.

30