



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3294345 B1

NORWAY

(19) NO

(51) Int Cl.

A61K 9/08 (2006.01)

A61K 48/00 (2006.01)

A61K 49/14 (2006.01)

A61P 25/28 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2024.01.29
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2023.10.18
(86)	European Application Nr.	16793229.2
(86)	European Filing Date	2016.05.05
(87)	The European Application's Publication Date	2018.03.21
(30)	Priority	2015.05.08, US, 201562158789 P 2016.02.26, US, 201662300171 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	BioMarin Pharmaceutical Inc., 105 Digital Drive, Novato, CA 94949, USA
(72)	Inventor	LESTER, Thomas, W., 4175 Somerset Ave, Castro Valley, CA 94546-3552, USA MOSHASHAEE, Saeed, 1869 Las Gallinas Avenue, San Rafael, CA 94903, USA OKHAMAFE, Augustus, O., 5310 Crystal Ranch Drive, Concord, CA 94521, USA O'NEILL, Charles, A., P.O. Box 218, Vineburg, CA 95487, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54) Title **TPP1 FORMULATIONS AND METHODS FOR TREATING CLN2 DISEASE**

(56) References

Cited:

EP-A1- 2 333 074

WO-A1-2014/085621

WO-A1-2014/089449

WO-A2-2015/013148

US-A1- 2010 210 604

US-A1- 2011 166 074

US-A1- 2012 148 558

US-A1- 2012 308 544

BRIAN R VUILLEMENOT ET AL: "Intrathecal tripeptidyl-peptidase 1 reduces lysosomal storage in a canine model of late infantile neuronal ceroid lipofuscinosis", MOLECULAR GENETICS AND METABOLISM, ACADEMIC PRESS, AMSTERDAM, NL, vol. 104, no. 3, 23 June 2011 (2011-06-23) , pages 325-337, XP028328996, ISSN: 1096-7192, DOI: 10.1016/J.YMGME.2011.06.018 [retrieved on 2011-06-30]

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. Formulering som omfatter rekombinant human tripeptidylpeptidase-1 (rhTPP1) for intracerebroventrikulær, intratekal eller intraokulær administrering, der rhTPP1 omfatter
5 aminosyresekvensen SEKV ID NR: 1 eller et fragment av denne, der formuleringen omfatter rhTPP1 i en konsentrasjon på fra 25 mg/mL til 35 mg/mL, som ytterligere omfatter kaliumklorid i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, magnesiumkloridheksahydrat i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, og kalsiumkloriddihydrat i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, og der
10 formuleringen har en pH på 6,5.
2. Formulering ifølge krav 1, som ytterligere omfatter tobasisk natriumfosfatheptahydrat i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, enbasisk natriumfosfatmonohydrat i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, og
15 natriumklorid i en konsentrasjon på fra 1 mg/mL til 20 mg/mL.
3. Formulering ifølge krav 1, som omfatter tobasisk natriumfosfatheptahydrat i en konsentrasjon på 0,11 mg/mL, enbasisk natriumfosfatmonohydrat i en konsentrasjon på 0,08 mg/mL, natriumklorid i en konsentrasjon på 8,77 mg/mL, kaliumklorid i en
20 konsentrasjon på 0,22 mg/mL, magnesiumkloridheksahydrat i en konsentrasjon på 0,16 mg/mL, og kalsiumkloriddihydrat i en konsentrasjon på 0,21 mg/mL.
4. Formulering ifølge et av kravene 1–3, der formuleringen er fri for konserveringsmidler.
25
5. Sammensetning som omfatter formulering ifølge et av kravene 1–4 til bruk for å behandle nevronal ceroid lipofuscinose (CLN2)-sykdom.
6. Sammensetning til bruk ifølge krav 5, der sammensetningen omfatter en dose på
30 300 mg rekombinant human tripeptidylpeptidase-1 (rhTPP1).
7. Sammensetning til bruk ifølge krav 5, der dosen med rekombinant human tripeptidylpeptidase-1 (rhTPP1) blir administrert til individet over et tidsrom på 4 timer.
- 35 8. Sammensetning til bruk ifølge krav 5, der dosen med rekombinant human tripeptidylpeptidase-1 (rhTPP1) blir administrert til individet ved en rate som er mindre enn eller lik 75 mg/time.

9. Sammensetning som omfatter rekombinant human tripeptidylpeptidase-1 (rhTPP1) til bruk for å behandle nevronal ceroid lipofuscinose (CLN2)-sykdom hos et individ som omfatter en dose med rekombinant human tripeptidylpeptidase-1 (rhTPP1) som er effektiv for å opprettholde en fysiologisk funksjon eller forsinke eller redusere forverring av en
- 5 fysiologisk funksjon hos individet, der den fysiologiske funksjonen is språkfunksjon, motorisk funksjon, syn eller næringsopptaksfunksjon, der rhTPP1 omfatter aminosyresekvensen SEKV ID NR: 1 eller et fragment av dette, og der sammensetningen omfatter rhTPP1 i en konsentrasjon på fra 25 mg/mL til 35 mg/mL, som ytterligere omfatter kaliumklorid i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL,
- 10 magnesiumkloridheksahydrat i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, og kalsiumkloriddihydrat i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, og der formuleringen har en pH på 6,5.
10. Sammensetning til bruk ifølge krav 9, der sammensetningen ytterligere omfatter
- 15 tobasisk natriumfosfatheptahydrat i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, enbasisk natriumfosfatmonohydrat i en konsentrasjon på fra 0,01 mg/mL til 1 mg/mL, og natriumklorid i en konsentrasjon på fra 1 mg/mL til 20 mg/mL.
11. Sammensetning til bruk ifølge krav 9, der sammensetningen omfatter tobasisk
- 20 natriumfosfatheptahydrat i en konsentrasjon på 0,11 mg/mL, enbasisk natriumfosfatmonohydrat i en konsentrasjon på 0,08 mg/mL, natriumklorid i en konsentrasjon på 8,77 mg/mL, kaliumklorid i en konsentrasjon på 0,22 mg/mL, magnesiumkloridheksahydrat i en konsentrasjon på 0,16 mg/mL, og kalsiumkloriddihydrat i en konsentrasjon på 0,21 mg/mL.