



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3374509 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12N 15/113 (2010.01)
A61K 31/712 (2006.01)
A61K 31/7125 (2006.01)
C12N 15/11 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.02.22
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2020.12.16
(86)	European Application Nr.	16798440.0
(86)	European Filing Date	2016.11.11
(87)	The European Application's Publication Date	2018.09.19
(30)	Priority	2015.11.12, EP, 15194367 2016.09.19, EP, 16189502
(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	F. Hoffmann-La Roche AG, Grenzacherstrasse 124, 4070 Basel, Sveits
(72)	Inventor	COSTA, Veronica, F. Hoffmann-La Roche AGGrenzacherstrasse 124, 4070 Basel, Sveits HEDTJÄRN, Maj, Roche Innovation Center Copenhagen A/SFremtidsvej 3, 2970 Hørsholm, Danmark HOENER, Marius, F. Hoffmann-La Roche AGGrenzacherstrasse 124, 4070 Basel, Sveits JAGASIA, Ravi, F. Hoffmann-La Roche AGGrenzacherstrasse 124, 4070 Basel, Sveits JENSEN, Mads Aaboe, Roche Innovation Center Copenhagen A/SFremtidsvej 3, 2970 Hørsholm, Danmark PATSCHE, Christoph, F. Hoffmann-La Roche AGGrenzacherstrasse 124, 4070 Basel, Sveits PEDERSEN, Lykke, Roche Innovation Center Copenhagen A/SFremtidsvej 3, 2970 Hørsholm, Danmark RASMUSSEN, Søren Vestergaard, Roche Innovation Center Copenhagen A/SFremtidsvej 3, 2970 Hørsholm, Danmark
(74)	Agent or Attorney	PLOUGMANN VINGTOFT, Postboks 1003 Sentrum, 0104 OSLO, Norge

(54) Title **OLIGONUCLEOTIDES FOR INDUCING PATERNAL UBE3A EXPRESSION**

(56) References

Cited:

WO-A2-2014/004572

LINYAN MENG ET AL: "Towards a therapy for Angelman syndrome by targeting a long non-coding RNA", NATURE, vol. 518, no. 7539, 1 December 2014 (2014-12-01), pages 409-412, XP055265928, United Kingdom ISSN: 0028-0836, DOI: 10.1038/nature13975

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-oligonukleotid hvori oligonukleotidet er oligonukleotidforbindelsen TTAcActtaattatactTCC (CMP ID NO: 626_7), hvori store bokstaver representerer beta-D-oksy-LNA-nukleosider, små bokstaver representerer DNA-nukleosider, alle LNA C er 5-metylcytosin og alle bindinger mellom nukleosider er fosfortioatbindinger mellom nukleosidene.
2. Farmasøytisk sammensetning som omfatter oligonukleotidet ifølge krav 1 og et farmasøytisk akseptabelt fortynningsmiddel, løsningsmiddel, bærer, salt og/eller adjuvans.
3. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 2, hvori det farmasøytisk akseptable fortynningsmidlet inkluderer fosfatbufret saltvann (PBS).
4. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 2 eller 3, hvori det farmasøytisk akseptable saltet er et natriumsalt.
5. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 2 eller 3, hvori det farmasøytisk akseptable saltet er et kaliumsalt.
6. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 5 for anvendelse som et medikament.
7. *In vitro*-fremgangsmåte for å indusere UBE3A-uttrykking i en målcelle der uttrykking av paternell UBE3A er undertrykt, fremgangsmåten omfattende å administrere et oligonukleotid ifølge krav 1 eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 5 til cellen i en effektiv mengde.
8. Fremgangsmåten ifølge krav 7, hvori uttrykkingen av UBE3A økes med minst 40 % sammenliknet med en kontroll.
9. Fremgangsmåten ifølge krav 7 eller 8, hvori konsentrasjonen av SNHG14-transkriptet nedstrøms for SNORD109B reduseres med minst 30 % sammenliknet med en kontroll.
10. Fremgangsmåten ifølge et hvilket som helst av kravene 7 til 9, hvori målcellen er en nevroncelle.
11. Fremgangsmåten ifølge et hvilket som helst av kravene 7 til 10, hvori uttrykkingen av SNORD115 ikke påvirkes signifikant sammenliknet med en kontroll.

12. Oligonukleotidet ifølge krav 1 eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 5 for anvendelse ved behandling eller forebygging av Angelmans syndrom.