



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3415167 B1

NORWAY

(19) NO

(51) Int Cl.

A61K 48/00 (2006.01)

A61P 21/04 (2006.01)

A61P 25/28 (2006.01)

A61K 38/17 (2006.01)

A61P 25/00 (2006.01)

A61P 43/00 (2006.01)

A61P 21/00 (2006.01)

A61P 25/02 (2006.01)

C12N 15/864 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2024.09.02
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.05.29
(86)	European Application Nr.	18181263.7
(86)	European Filing Date	2013.07.31
(87)	The European Application's Publication Date	2018.12.19
(30)	Priority	2012.08.01, US, 201261678458 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
(62)	Divided application	EP2879719, 2013.07.31
(73)	Proprietor	Nationwide Children's Hospital, 700 Children's Hospital Drive Room W172, Columbus, OH 43205, USA Ohio State Innovation Foundation, 1524 North High Street, Columbus, OH 43201, USA
(72)	Inventor	KASPAR, Brian K., Rancho Santa Fe, CA 92067, USA PORENSKY, Paul, San Diego, CA 92124, USA BURGHES, Arthur, 104 Brevoort Road, Columbus, Ohio 43214, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54) Title **INTRATHECAL DELIVERY OF RECOMBINANT ADENO-ASSOCIATED VIRUS 9**

(56) References

Cited:

WO-A2-2011/112902

FEDERICI T. ET AL.: "Robust spinal motor neuron transduction following intrathecal delivery of AAV9 in pigs", GENE THERAPY, vol. 19, 15 September 2011 (2011-09-15), pages 852-859, XP002711717,

KEVIN D FOUST ET AL: "Rescue of the spinal muscular atrophy phenotype in a mouse model by early postnatal delivery of SMN", NATURE BIOTECHNOLOGY, vol. 28, no. 3, 1 March 2010 (2010-03-01), pages 271-274, XP055073169, ISSN: 1087-0156, DOI: 10.1038/nbt.1610

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. Sammensetning for anvendelse i behandling av en nevrologisk sykdom hos en pasient med behov derav, hvori sammensetningen omfatter en rekombinant AAV9 (rAAV9), og anvendelsen omfatter å levere sammensetningen til pasienten med intratekal, intrasisternal eller intracerebroventrikulær injeksjon i kombinasjon med et ikke-ionisk, lav-osmolart kontrastmiddel, hvori rAAV9 omfatter et rAAV9-genom som inkluderer et terapeutisk polynukleotid, hvori rAAV9-genomet er et enkelttrådet genom og/eller rAAV9-genomet er et selvkomplementært genom og hvori den nevrologiske sykdommen er CLN1-sykdom, CLN2-sykdom, CLN3-sykdom, CLN4-sykdom, CLN5-sykdom, CLN6-sykdom eller CLN8-sykdom.
2. Kombinasjon for anvendelse i behandling av en nevrologisk sykdom hos en pasient med behov derav, hvori kombinasjonen omfatter en rAAV9 og et ikke-ionisk, lav-osmolart kontrastmiddel, og anvendelsen omfatter å levere kombinasjonen til pasienten med intratekal, intrasisternal eller intracerebroventrikulær injeksjon, hvori rAAV9 omfatter et rAAV9-genom som inkluderer et terapeutisk polynukleotid, hvori rAAV9-genomet er et enkelttrådet genom og/eller rAAV9-genomet er et selvkomplementært genom og hvori den nevrologiske sykdommen er CLN1-sykdom, CLN2-sykdom, CLN3-sykdom, CLN4-sykdom, CLN5-sykdom, CLN6-sykdom eller CLN8-sykdom.
3. Sammensetningen for anvendelse ifølge krav 1 eller kombinasjonen for anvendelse ifølge krav 2, hvori sammensetningen eller kombinasjonen leveres til hjernen eller ryggmargen til pasienten.
4. Sammensetningen eller kombinasjonen for anvendelse ifølge krav 3, hvori leveringen til hjernen eller ryggmargen omfatter levering til en hjernestamme.
5. Sammensetningen eller kombinasjonen for anvendelse ifølge krav 3, hvori leveringen til hjernen eller ryggmargen omfatter levering til en motorisk cortex.
6. Sammensetningen eller kombinasjonen for anvendelse ifølge krav 3, hvori leveringen til hjernen eller ryggmargen omfatter levering til en nervecelle, en gliacelle eller begge deler.
7. Sammensetningen eller kombinasjonen for anvendelse ifølge krav 3, hvori leveringen til hjernen eller ryggmargen omfatter levering til et nevron, et nedre motornevron, en mikroglialcelle, en oligodendrocytt, en astrocytt eller en Schwann-celle.

8. Sammensetningen for anvendelse eller kombinasjon for anvendelse ifølge et hvilket som helst foregående krav, hvori det ikke-ioniske, lav-osmolare kontrastmidlet er iobitridol, ioheksol, iomeprol, iopamidol, iopentol, iopromid, ioversol eller ioksilan.

5

9. Sammensetningen for anvendelse eller kombinasjon for anvendelse ifølge krav 8, hvori det ikke-ioniske, lav-osmolare kontrastmidlet er ioheksol.

10. Sammensetningen eller kombinasjonen for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori pasienten settes i Trendelenburg-stillingen etter intratekal levering av rAAV9.

10