



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3442600 B1

NORWAY

(19) NO

(51) Int Cl.

A61K 48/00 (2006.01)

A61P 21/00 (2006.01)

C07K 14/47 (2006.01)

C12N 15/12 (2006.01)

C12N 15/85 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2024.05.13
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.03.13
(86)	European Application Nr.	17783207.8
(86)	European Filing Date	2017.04.14
(87)	The European Application's Publication Date	2019.02.20
(30)	Priority	2016.04.15, US, 201662323333 P 2016.12.13, US, 201662433548 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
	Designated Validation States:	MA ; MD
(73)	Proprietor	Research Institute at Nationwide Children's Hospital, 700 Children's Drive, Room W172, Columbus, Ohio 43205, USA
(72)	Inventor	RODINO-KLAPAC, Louise, 4912 Bixby Ridge Drive E, Groveport, OH 43125, USA MENDELL, Jerry, R., 8176 Copperfield Drive, Columbus, OH43235, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54)	Title	ADENO-ASSOCIATED VIRUS VECTOR DELIVERY OF B-SARCOGLYCAN AND MICRORNA-29 AND THE TREATMENT OF MUSCULAR DYSTROPHY
(56)	References Cited:	US-A- 5 672 694, US-A1- 2011 301 226, US-A1- 2006 154 250 POZSGAI et al.: "beta-Sarcoglycan Gene Transfer Leads to Functional Improvement in a Model of LGMD2E (S61.002", Neurology, vol. 82, no. 10, suppl., 8 April 2014 (2014-04-08), page 1 of 1, XP009513811, ISSN: 0028-3878 BAODONG SUN ET AL: "Correction of Multiple Striated Muscles in Murine Pompe Disease Through Adeno-associated Virus-mediated Gene Therapy", MOLECULAR THERAPY, vol. 16, no. 8, 17 June 2008 (2008-06-17), pages 1366-1371, XP055080604, ISSN: 1525-0016, DOI: 10.1038/mt.2008.133 ZANOTTI SIMONA ET AL: "Opposing roles of miR-21 and miR-29 in the progression of fibrosis in Duchenne muscular dystrophy", BIOCHIMICA ET BIOPHYSICA ACTA. MOLECULAR BASIS OF DISEASE, AMSTERDAM, NL, vol. 1852, no. 7, 17 April 2015 (2015-04-17), pages 1451- 1464, XP029232473, ISSN: 0925-4439, DOI: 10.1016/J.BBADIS.2015.04.013

POZSGAI et al.: "172. Pre-Clinical Efficacy Study of Beta-Sarcoglycan Gene Transfer",
Molecular Therapy, vol. 21, no. Suppl. 1, 1 May 2013 (2013-05-01), page S68, XP055433494,
POZSGAI ET AL: "172. Pre-Clinical Efficacy Study of Beta-Sarcoglycan Gene Transfer",
MOLECULAR THERAPY, vol. 21, no. suppl. 1, 1 May 2013 (2013-05-01), page s68,
XP55433494, United States

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. Rekombinant AAV-vektor omfattende en polynukleotidsekvens som koder for β -sarkoglykan, hvori polynukleotidsekvensen omfatter en nukleotidsekvens minst 95 % identisk med SEQ ID NO: 1.
5
2. Rekombinant AAV-vektor omfattende en polynukleotidsekvens som koder for β -sarkoglykan som er minst 95 % identisk med SEQ ID NO: 2.
- 10 3. Den rekombinante AAV-vektoren ifølge krav 1 eller 2, hvori polynukleotidsekvensen som koder for β -sarkoglykan omfatter nukleotidsekvensen angitt i SEQ ID NO: 1.
4. Den rekombinante AAV-vektoren ifølge krav 2, hvori polynukleotidsekvensen koder for β -sarkoglykan ifølge SEQ ID NO: 2.
15
5. Den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–4, hvori vektoren er av serotypen AAV1, AAV2, AAV4, AAV5, AAV6, AAV7, AAV8, AAV9, AAV10, AAV11, AAV12, AAV13 eller AAV rh.74.
- 20 6. Den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–5, hvori polynukleotidsekvensen er operativt koblet til et muskelspesifikt kontrollelement.
7. Den rekombinante AAV-vektoren ifølge krav 6, hvori det muskelspesifikke kontrollelementet er den avkortede MCK-promotoren (tMCK).
25
8. Den rekombinante AAV-vektoren ifølge krav 6, hvori det muskelspesifikke kontrollelementet er MHCK7-promotoren.
9. Den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–8, omfattende nukleotidsekvensen angitt i SEQ ID NO: 3.
30
10. Den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–8, omfattende nukleotidsekvensen angitt i SEQ ID NO: 5.
- 35 11. Sammensetning omfattende den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–10.

12. Sammensetning omfattende den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–10 for anvendelse for å redusere fibrose hos et individ med behov derav.
- 5 13. Sammensetning omfattende den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–10 for anvendelse for å behandle β -sarkoglykanopati hos et individ med behov derav.
- 10 14. Sammensetningen for anvendelse ifølge krav 12 eller 13, hvori individet lider av muskeldystrofi, eventuelt hvori muskeldystrofien er limb-gerdle muskeldystrofi.
- 15 15. Sammensetning omfattende den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–10 for anvendelse i behandlingen av muskeldystrofi.
- 15 16. Sammensetningen for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 12–15, hvori individet er et menneske.
- 20 17. Sammensetning omfattende den rekombinante AAV-vektoren ifølge et hvilket som helst av kravene 1–10 for anvendelse i behandling av muskeldystrofi, eventuelt hvori muskeldystrofien er lem-girdle muskeldystrofi (LGMD), og eventuelt hvori LGMD er LGMD2E.
- 25 18. Sammensetningen for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 12–17, eller sammensetningen ifølge krav 11, videre omfattende en andre rekombinant AAV-vektor omfattende miR-29-nukleotidsekvensen.
- 30 19. Sammensetningen for anvendelse ifølge krav 18, eller sammensetningen ifølge krav 11, hvori den andre rekombinante AAV-vektoren omfatter nukleotidsekvensen angitt i SEQ ID NO: 9 eller nukleotidsekvensen angitt i SEQ ID NO: 8.
20. Sammensetningen for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 12–19, hvori sammensetningen formuleres for intramuskulær injeksjon eller intravenøs injeksjon, og/eller formuleres for systemisk administrering.
- 35 21. Sammensetningen for anvendelse ifølge krav 20, eller sammensetningen ifølge krav 20, hvori den systemiske administreringen er parenteral administrering ved injeksjon, infusjon eller implantasjon.