



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3505635 B1

NORWAY

(19) NO

(51) Int Cl.

C12N 15/864 (2006.01)

A61K 48/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2022.10.03
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2022.05.18
(86)	European Application Nr.	19158152.9
(86)	European Filing Date	2008.10.03
(87)	The European Application's Publication Date	2019.07.03
(30)	Priority	2007.10.05, EP, 07301435
(84)	Designated Contracting States:	AT; BE; BG; CH; CY; CZ; DE; DK; EE; ES; FI; FR; GB; GR; HR; HU; IE; IS; IT; LI; LT; LU; LV; MC; MT; NL; NO; PL; PT; RO; SE; SI; SK; TR
(73)	Proprietor	Genethon, 1 bis rue de l'Internationale, 91000 Evry, Frankrike CENTRE NATIONAL DE LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE, 3, rue Michel Ange, 75016 Paris, Frankrike
(72)	Inventor	BARKATS, Martine, 21, rue Guérin, 94220 Charenton le Pont, Frankrike
(74)	Agent or Attorney	BRYN AARFLOT AS, Stortingsgata 8, 0161 OSLO, Norge

(54)	Title	WIDESPREAD GENE DELIVERY TO MOTOR NEURONS USING PERIPHERAL INJECTION OF AAV VECTORS
(56)	References Cited:	WO-A2-2007/089632 EP-A- 2 019 143 WO-A-03/055983 BOULIS NICHOLAS M ET AL: "Adeno-associated viral vector gene expression in the adult rat spinal cord following remote vector delivery.", NEUROBIOLOGY OF DISEASE DEC 2003, vol. 14, no. 3, December 2003 (2003-12), pages 535-541, XP002474413, ISSN: 0969-9961 KASPAR B K ET AL: "Retrograde viral delivery of IGF-1 prolongs survival in a mouse ALS model", SCIENCE, vol. 301, no. 5634, 8 August 2003 (2003-08-08), pages 839-842, XP002347775, ISSN: 0036-8075 FU H ET AL: "Self-complementary adeno-associated virus serotype 2 vector: global distribution and broad dispersion of AAV-mediated transgene expression in mouse brain", MOLECULAR THERAPY, vol. 8, no. 6, December 2003 (2003-12), pages 911-917, XP002350611, ISSN: 1525- 0016 INAGAKI ET AL: "Robust systemic transduction with AAV9 vectors in mice: efficient global cardiac gene transfer superior to that of AAV8", MOLECULAR THERAPY, vol. 14, no. 1, July 2006 (2006-07), pages 45-53, XP005560370, ISSN: 1525-0016 HOLLIS EDMUND R 2ND ET AL: "Efficient retrograde neuronal transduction utilizing self- complementary AAV1", MOLECULAR THERAPY, vol. 16, no. 2, 1 February 2008 (2008-02-01), pages 296-301, XP009107566, ISSN: 1525-0016

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. En AAV-vektor for bruk i en fremgangsmåte for behandling av en motornevro sykdom i et individ med behov for det, hvori vektoren administreres ved perifer administrering av AAV-vektoren til nevnte individ, nevnte administrering forårsaker infeksjon av motornevroner og ekspresjon av gen i motornevroner, og hvori; nevnte AAV vektor omfatter

- et humant AAV9-kapsid; og
- et AAV-2-avledet genom som omfatter et gen av interesse som koder for et terapeutisk produkt, hvor nevnte gen av interesse er operabelt koblet til en promoter som er spesifikk eller funksjonell i motornevroner;

hvori genet koder for "overlevelse av motornevron"-protein (SMN); og hvori motornevro sykdommen er spinal muskelatrofi (SMA) lidelse.

2. AAV-vektor for bruk ifølge krav 1, hvori den perifere injeksjonen omfatter intraperitoneal (i.p.), intramuskulær (i.m.) eller intravenøs (i.v.) injeksjon, fortrinnsvis intravenøs injeksjon.

3. AAV-vektor for bruk ifølge krav 1 eller 2, hvori AAV-genomet er et replikasjonsdefekt AAV-genom som mangler funksjonelle Rep- og Cap-kodende virale sekvenser.

4. AAV-vektor for anvendelse ifølge hvilket som helst av kravene 1 til 3, hvori AAV er et dobbelttrådet selvkomplementært genom.