



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3516060 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12N 15/113 (2010.01)
A61K 31/7088 (2006.01)
A61K 31/712 (2006.01)
A61P 27/02 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.10.18
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2021.07.21
(86)	European Application Nr.	17781030.6
(86)	European Filing Date	2017.09.22
(87)	The European Application's Publication Date	2019.07.31
(30)	Priority	2016.09.23, GB, 201616202
(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	ProQR Therapeutics II B.V., Zernikedreef 9, 2333 CK Leiden, Nederland
(72)	Inventor	VAN DIEPEN, Hester Catharina, c/o ProQR Therapeutics II B.V.Zernikedreef 9, 2333 CK Leiden, Nederland TURUNEN, Janne Juha, c/o ProQR Therapeutics II B.V.Zernikedreef 9, 2333 CK Leiden, Nederland CHAN, Hee Lam, c/o ProQR Therapeutics II B.V.Zernikedreef 9, 2333 CK Leiden, Nederland
(74)	Agent or Attorney	BRYN AARFLOT AS, Stortingsgata 8, 0161 OSLO, Norge

(54)	Title	ANTISENSE OLIGONUCLEOTIDES FOR THE TREATMENT OF EYE DISEASE
(56)	References Cited:	WO-A1-2012/151324 WO-A1-2015/134812 WO-A1-2016/005514 LENASSI EVA ET AL: "The effect of the common c.2299delG mutation inUSH2Aon RNA splicing", EXPERIMENTAL EYE RESEARCH, vol. 122, 4 March 2014 (2014-03-04), pages 9-12, XP028659806, ISSN: 0014-4835, DOI: 10.1016/J.EXER.2014.02.018

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. Antisenseoligonukleotid (AON) for å hoppe over ekson 13 i humant *USH2A* pre-mRNA, hvor AON består av sekvensen SEKV ID NR: 5, 6 eller 7.
5
2. AON ifølge krav 1, hvor AON er et oligoribonukleotid.
3. AON ifølge krav 1 eller 2, hvor AON omfatter en 2'-O
10 alkylmodifikasjon.
4. AON ifølge krav 3, hvor alle nukleotider i nevnte AON er 2'-O-metylmodifiserte.
- 15 5. AON ifølge krav 1 eller 2, hvor AON omfatter en 2'-O-metoksyetylmodifikasjon.
6. AON ifølge krav 5, hvor alle nukleotider i AON bærer en 2'-O-metoksyetylmodifikasjon.
20
7. AON ifølge krav 3 eller 5, hvor AON er et oligoribonukleotid omfattende en 2'-O-metyl og en 2'-O-metoksyetyl-modifikasjon.
8. AON ifølge ethvert av kravene 1 til 7, hvor AON har minst en
25 fosfortioatbinding.
9. AON ifølge krav 8, hvor alle sekvensielle nukleotider er sammenkoblet med fosforotioatbindinger.
- 30 10. Farmasøytisk sammensetning omfattende en AON ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, og en farmasøytisk akseptabel bærer.

11. Farmasøytisk sammensetning ifølge krav 10, hvor den farmasøytiske sammensetningen er til intravitreal administrering og doseres i en mengde fra 0,05 mg og 5 mg totalt AON per øye.
- 5 12. Farmasøytisk sammensetning ifølge krav 10 eller 11, hvor den farmasøytiske sammensetningen er til intravitreal administrering og doseres i en mengde fra 0,1 og 1 mg totalt AON per øye, slik som 0,1, 0,2, 0,3, 0,4, 0,5, 0,6, 0,7, 0,8, 0,9 eller 1,0 mg totalt AON per øye.
- 10 13. Viral vektor som uttrykker en AON ifølge krav 1.
14. AON ifølge et av kravene 1 til 9, et farmasøytisk preparat ifølge et hvilket som helst av kravene 10 til 12, eller en virusvektor ifølge krav 13, for anvendelse ved behandling, forebygging eller forsinkelse av en
- 15 USH2A-relatert sykdom eller en tilstand som krever modulerende spleising av USH2A pre-mRNA.
15. In vitro-metode for modulering av spleising av USH2A pre-mRNA i en celle, hvor metoden omfatter å kontakte cellen med en AON ifølge et
- 20 av kravene 1 til 9, en farmasøytisk sammensetning ifølge et hvilket som helst av kravene 10 til 12, eller en viral vektor ifølge krav 13.