



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3534922 B1

NORWAY

(19) NO

(51) Int Cl.

C12N 15/86 (2006.01)

A61K 9/00 (2006.01)

A61K 9/19 (2006.01)

A61K 31/195 (2006.01)

A61K 35/76 (2015.01)

A61K 47/02 (2006.01)

A61K 47/18 (2017.01)

A61K 47/22 (2006.01)

A61K 47/26 (2006.01)

A61P 7/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2024.06.03
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.04.17
(86)	European Application Nr.	17866366.2
(86)	European Filing Date	2017.11.03
(87)	The European Application's Publication Date	2019.09.11
(30)	Priority	2016.11.04, US, 201662417750 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
(73)	Proprietor	Takeda Pharmaceutical Company Limited, 1-1, Doshomachi 4-chome, Chuo-ku,, Osaka-shi, Osaka, Japan
(72)	Inventor	FIEDLER, Christian, Raaberbahngasse 18/36, 1100 Vienna, Østerrike FRITSCHER, Eva, Mariannengasse 17/13, 1090 Vienna, Østerrike HASSLACHER, Meinhard, Vorgartenstrasse 221/1/7, 1020 Vienna, Østerrike MITTERGRADNEGGER, Dominik, Fanny-Mintz Gasse 3/142, 1020 Vienna, Østerrike TABISH, Tanvir, Brunner Strasse 213 Apt. 213, 1210 Vienna, Østerrike
(74)	Agent or Attorney	BRYN AARFLOT AS, Stortingsgata 8, 0161 OSLO, Norge

(54) Title **ADENO-ASSOCIATED VIRUS FORMULATIONS**

(56) References

Cited:

WO-A1-2016/154055

US-A1- 2012 141 528

US-B2- 9 051 542

WRIGHT J F ET AL: "Identification of factors that contribute to recombinant AAV2 particle aggregation and methods to prevent its occurrence during vector purification and formulation", MOLECULAR THERAPY : THE JOURNAL OF THE AMERICAN SOCIETY OF GENE THERAPY, ACADEMIC PRESS ; NATURE PUBLISHING GROUP, US, vol. 12, no. 1, 1 July 2005 (2005-07-01), pages 171-178, XP004974961, ISSN: 1525-0016, DOI: 10.1016/J.YMTHE.2005.02.021

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/>

ADENO-ASSOSIERTE VIRUSFORMULERINGER

Patentkrav

1. Farmasøytisk sammensetning omfattende adeno-assosiert virus (AAV) og en formulering omfattende:

- (i) 5 mM til 25 mM L-histidin;
- (ii) 50 mM til 150 mM natriumklorid;
- (iii) 0,001 % (vekt/volum) til 0,01 % (vekt/volum) polysorbat 20 eller polysorbat 80 eller en kombinasjon derav; og
- (iv) 1 % til 10 % (vekt/volum) sukker, sukkeralkohol eller kombinasjon derav.

2. Farmasøytisk sammensetning omfattende adeno-assosiert virus (AAV) og en formulering omfattende:

- (i) 5 mM til 25 mM L-histidin;
- (ii) mindre enn 100 mM natriumklorid;
- (iii) 0,001 % (vekt/volum) til 0,01 % (vekt/volum) polysorbat 20 eller polysorbat 80 eller en kombinasjon derav; og
- (iv) 1 % til 10 % (vekt/volum) sukker, sukkeralkohol eller kombinasjon derav.

3. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori den farmasøytiske sammensetningen har en pH på 6,9 til 7,7, eventuelt 7,0 eller 7,5.

4. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, omfattende 10 mM til 20 mM L-histidin.

5. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 1, 3 eller 4, omfattende 50 mM til 120 mM natriumklorid.

6. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 2–4, omfattende 0 mM til 100 mM, 0 mM til 60 mM, 30 mM til 100 mM, 30 mM til 80 mM, 30 mM til 60 mM, 60 mM til 100 mM eller 60 mM til 80 mM natriumklorid.

- 7.** Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori polysorbatet er polysorbat 80.
- 8.** Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 7, omfattende 0,0025 % til 0,0075 % (vekt/volum) polysorbat 80.
- 9.** Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori sukkeret er sukrose, trehalose eller en kombinasjon derav.
- 10.** Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori sukkeret er 1 % (vekt/volum) til 5 % (vekt/volum) sukrose, trehalose eller en kombinasjon derav.
- 11.** Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori sukkeret er trehalose, eventuelt trehalosedihydrat.
- 12.** Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, videre omfattende glysin, eventuelt i en konsentrasjon på 35 mM til 65 mM.
- 13.** Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 1, hvori formuleringen omfatter:
- (i) 10 mM L-histidin,
 - (ii) 100 mM natriumklorid,
 - (iii) 0,005 % (vekt/volum) polysorbat 80,
 - (iv) 5 % (vekt/volum) trehalose, og
 - (v) 50 mM glysin.
- 14.** Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 2, hvori formuleringen omfatter:
- (i) 10 mM L-histidin,
 - (ii) mindre enn 100 mM natriumklorid,
 - (iii) 0,005 % (vekt/volum) polysorbat 80,
 - (iv) 5 % (vekt/volum) trehalose, og
 - (v) 50 mM glysin.

15. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 13 eller 14, hvori trehalosen er trehalosedihydrat.

16. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 14, omfattende 80 mM, 70 mM, 60 mM, 50 mM, 40 mM, 30 mM eller 0 mM natriumklorid.

17. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, omfattende AAV1, AAV2, AAV3, AAV4, AAV5, AAV6, AAV7, AAV8, AAV9 eller AAV10.

18. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori sammensetningen er flytende eller lyofilisert.

19. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori sammensetningen er til stede i en enhetsdosebeholder, eventuelt hvori enhetsdosebeholderen er et hetteglass, eventuelt hvori hetteglasset er en forseglet glassampulle.

20. Fremgangsmåte for fremstilling av en farmasøytisk sammensetning omfattende adeno-assosiert virus (AAV), omfattende kombinerings av L-histidin, natriumklorid, polysorbatet og sukkeret, sukkeralkoholen eller kombinasjoner derav av den farmasøytiske sammensetningen ifølge kravene 1–19, for derved å oppnå en farmasøytisk sammensetning omfattende AAV.

21. Fremgangsmåte for fremstilling av en farmasøytisk sammensetning omfattende adeno-assosiert virus (AAV), omfattende kombinerings av 5 mM til 25 mM L-histidin, 0 mM til 150 mM natriumklorid, 0,001 % (vekt/volum) til 0,01 % (vekt/volum) polysorbat 80, 1 % (vekt/volum) til 10 % (vekt/volum) sukrose, trehalose eller en kombinasjon derav og AAV, for derved å oppnå en farmasøytisk sammensetning omfattende AAV.

22. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 1–19, for anvendelse i en fremgangsmåte for behandling av en forstyrrelse eller sykdom hos et individ, omfattende administrering til individet av den farmasøytiske sammensetningen i en mengde effektiv for å behandle forstyrrelsen eller sykdommen.

23. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse ifølge krav 22, hvori forstyrrelsen eller sykdommen kan behandles ved genterapi.

24. Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse ifølge krav 22 eller 23, hvori forstyrrelsen eller sykdommen er en blødningsforstyrrelse.

25. Fremgangsmåten ifølge krav 21, hvori fremstilling av den farmasøytiske sammensetningen omfatter kombinerings av 50 mM til 150 mM natriumklorid, 30 mM til mindre enn 100 mM natriumklorid, 0 mM til mindre enn 100 mM natriumklorid, 30 mM natriumklorid, 60 mM natriumklorid eller 0 mM natriumklorid.