



(12) **Translation of
European patent specification**

(11) **NO/EP 3554552 B1**

NORWAY

(19) **NO**

(51) **Int Cl.**

A61K 47/64 (2017.01)

A61P 21/00 (2006.01)

A61K 31/7088 (2006.01)

A61P 25/14 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

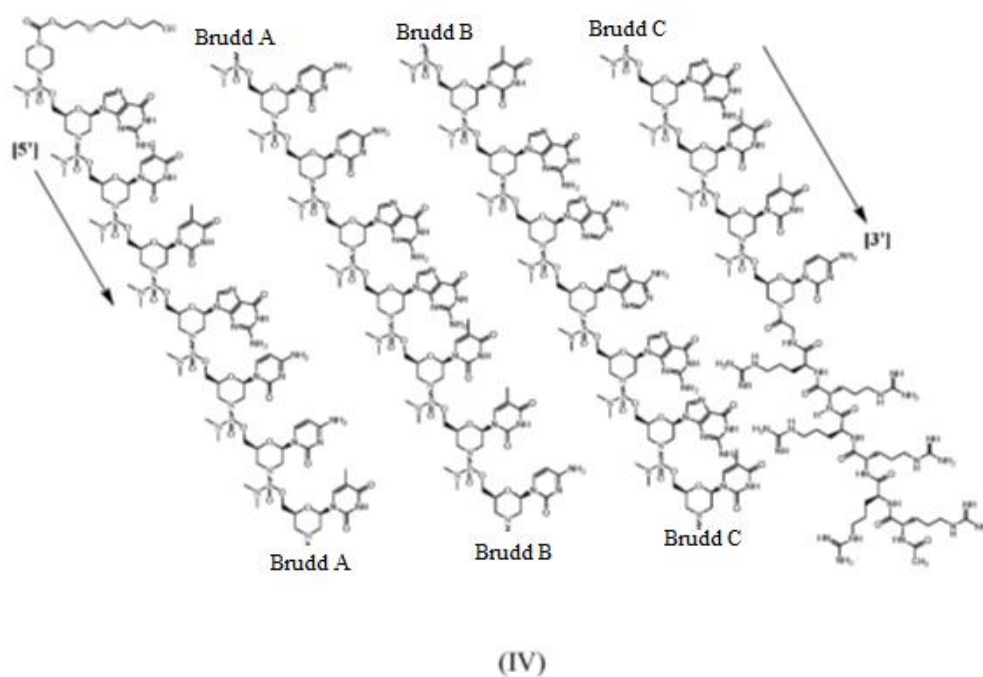
(45)	Translation Published	2022.10.24
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2022.08.17
(86)	European Application Nr.	17826645.8
(86)	European Filing Date	2017.12.14
(87)	The European Application's Publication Date	2019.10.23
(30)	Priority	2016.12.19, US, 201662436223 P 2017.01.06, US, 201762443484 P 2017.03.30, US, 201762479178 P 2017.09.22, US, 201762562146 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; TN
(73)	Proprietor	Sarepta Therapeutics, Inc., 215 First Street, Suite 415, Cambridge, MA 02142, USA
(72)	Inventor	PASSINI, Marco, A., 215 First Street Suite 415, Cambridge, MA 02142, USA HANSON, Gunnar, J., 215 First Street Suite 415, Cambridge, MA 02142, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54)	Title	EXON SKIPPING OLIGOMER CONJUGATES FOR MUSCULAR DYSTROPHY
(56)	References Cited:	WO-A1-2012/150960 US-A1- 2010 168 212 WO-A1-2014/100714 WO-A1-2019/059973 WO-A2-2014/153240 WO-A2-2017/062835

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/>

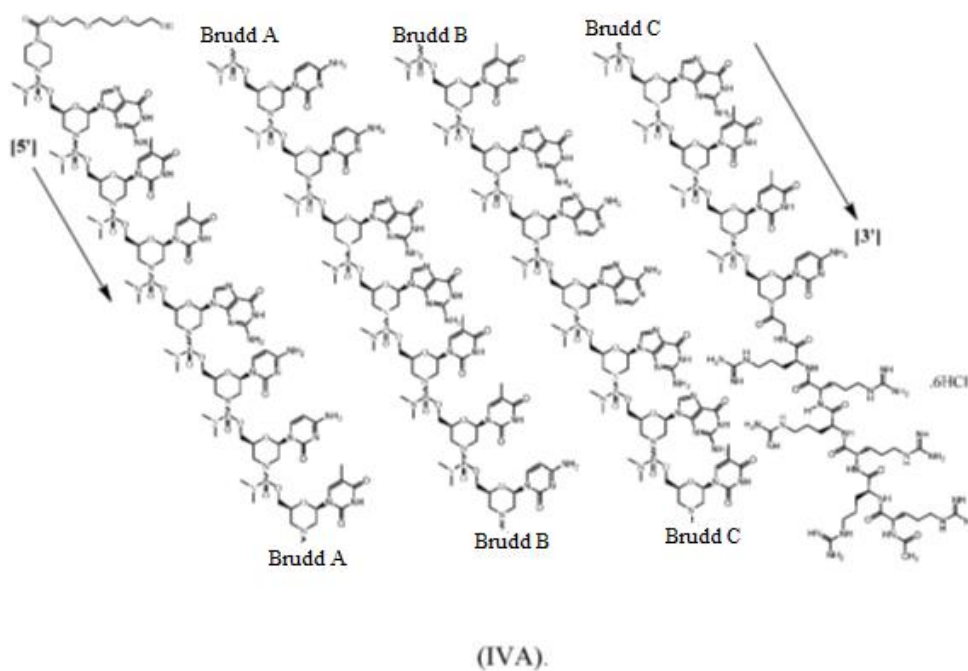
Patentkrav

1. Antisense-oligomerkonjugat av formel (IV):



- 5 eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav.

2. Antisense-oligomerkonjugatet ifølge krav 1, hvori antisense-oligomeren er av formel (IVA):



3. Farmasøytisk sammensetning, omfattende et antisense-oligomerkonjugat ifølge krav 1 eller 2, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og en farmasøytisk akseptabel bærer.
- 5 4. Antisense-oligomerkonjugatet eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav ifølge krav 1 eller 2, for anvendelse i terapi.
5. Antisense-oligomerkonjugatet eller farmasøytisk akseptabelt salt derav ifølge krav 1 eller 2, eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 3, for anvendelse ved
10 behandling av Duchenne muskeldystrofi (DMD) hos et individ med behov derav hvori individet har en mutasjon av dystrofingenet som er mottagelig for ekson 53-hopping.
6. Antisense-oligomerkonjugatet eller farmasøytisk akseptabelt salt derav ifølge krav 1 eller 2, eller den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 3, for anvendelse i å
15 gjenopprette en mRNA-leseramme for å indusere dystrofinproduksjon i et individ som har en mutasjon av dystrofingenet som er mottagelig for ekson-53-hopping.
7. Antisense-oligomerkonjugatet eller farmasøytisk akseptabelt salt derav, eller den farmasøytiske sammensetningen, for anvendelse ifølge krav 5 eller 6, hvori anvendelsen
20 omfatter administrering av antisense-oligomerkonjugatet ukentlig.
8. Antisense-oligomerkonjugatet eller farmasøytisk akseptabelt salt derav, eller den farmasøytiske sammensetningen, for anvendelse ifølge krav 5 eller 6, hvori anvendelsen omfatter administrering av antisense-oligomerkonjugatet annenhver uke.
25
9. Antisense-oligomerkonjugatet eller farmasøytisk akseptabelt salt derav, eller den farmasøytiske sammensetningen, for anvendelse ifølge krav 5 eller 6, hvori anvendelsen omfatter administrering av antisense-oligomerkonjugatet hver tredje uke.
- 30 10. Antisense-oligomerkonjugatet eller farmasøytisk akseptabelt salt derav, eller den farmasøytiske sammensetningen, for anvendelse ifølge krav 5 eller 6, hvori anvendelsen omfatter administrering av antisense-oligomerkonjugatet månedlig.
11. Antisense-oligomerkonjugatet eller farmasøytisk akseptabelt salt derav, eller den
35 farmasøytiske sammensetningen, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 4–10, hvori anvendelsen omfatter administrering av antisense-oligomerkonjugatet i en dose valgt fra (i) ca. 30 mg/kg; (ii) ca. 40 mg/kg; (iii) ca. 60 mg/kg; (iv) ca. 80 mg/kg; og (v) ca. 160 mg/kg.

12. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 3 for anvendelse for å ekskludere ekson 53 fra dystrofin-pre-mRNA under mRNA-behandling i et individ som har en mutasjon av dystrofingenet som er mottagelig for ekson 53-hopping.

5

13. Den farmasøytiske sammensetningen ifølge krav 3 for anvendelse i binding av ekson 53 av dystrofin-pre-mRNA i et individ som har en mutasjon av dystrofingenet som er mottagelig for ekson 53-hopping.