



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3554553 B1

NORWAY

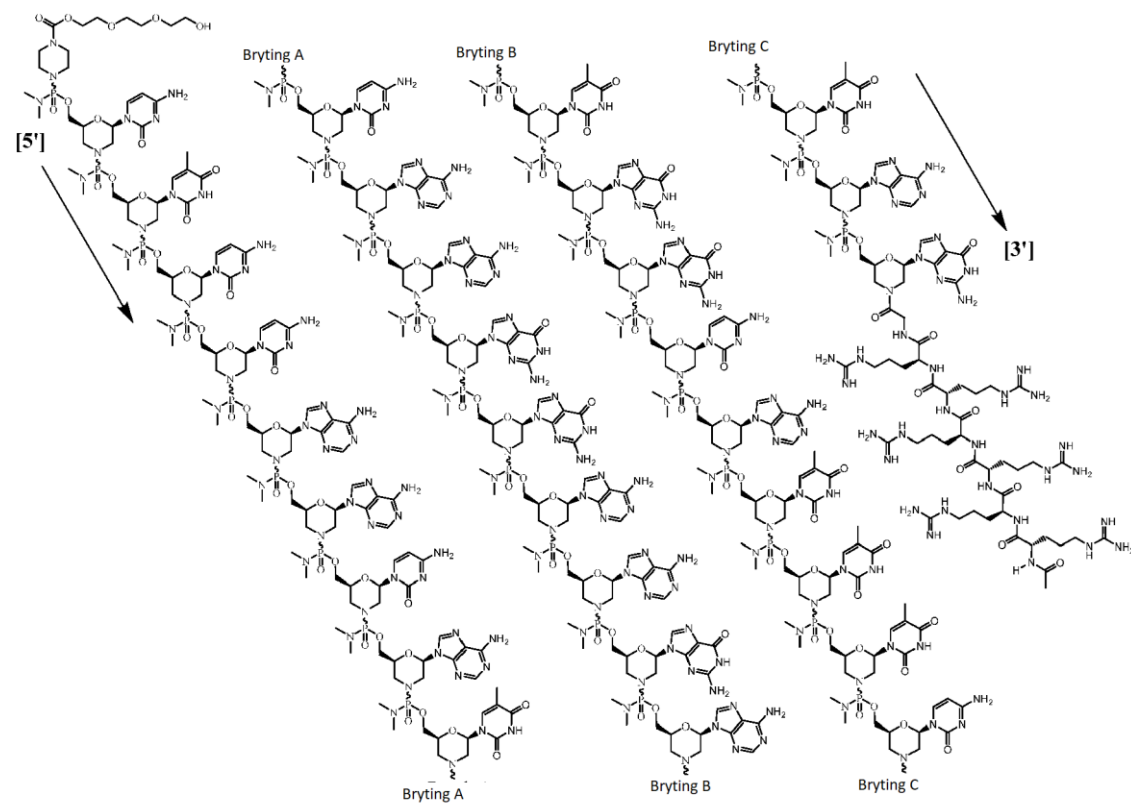
(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 47/64 (2017.01)
A61K 31/712 (2006.01)
A61K 31/7125 (2006.01)
A61P 21/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2022.09.26
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2022.07.20
(86)	European Application Nr.	17832401.8
(86)	European Filing Date	2017.12.13
(87)	The European Application's Publication Date	2019.10.23
(30)	Priority	2016.12.19, US, 201662436182 P 2017.01.06, US, 201762443476 P 2017.03.30, US, 201762479173 P 2017.09.22, US, 201762562080 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-A2-2017/062835 WO-A1-2012/150960 WO-A1-2012/109296 US-A1- 2010 168 212 WO-A2-2014/144978

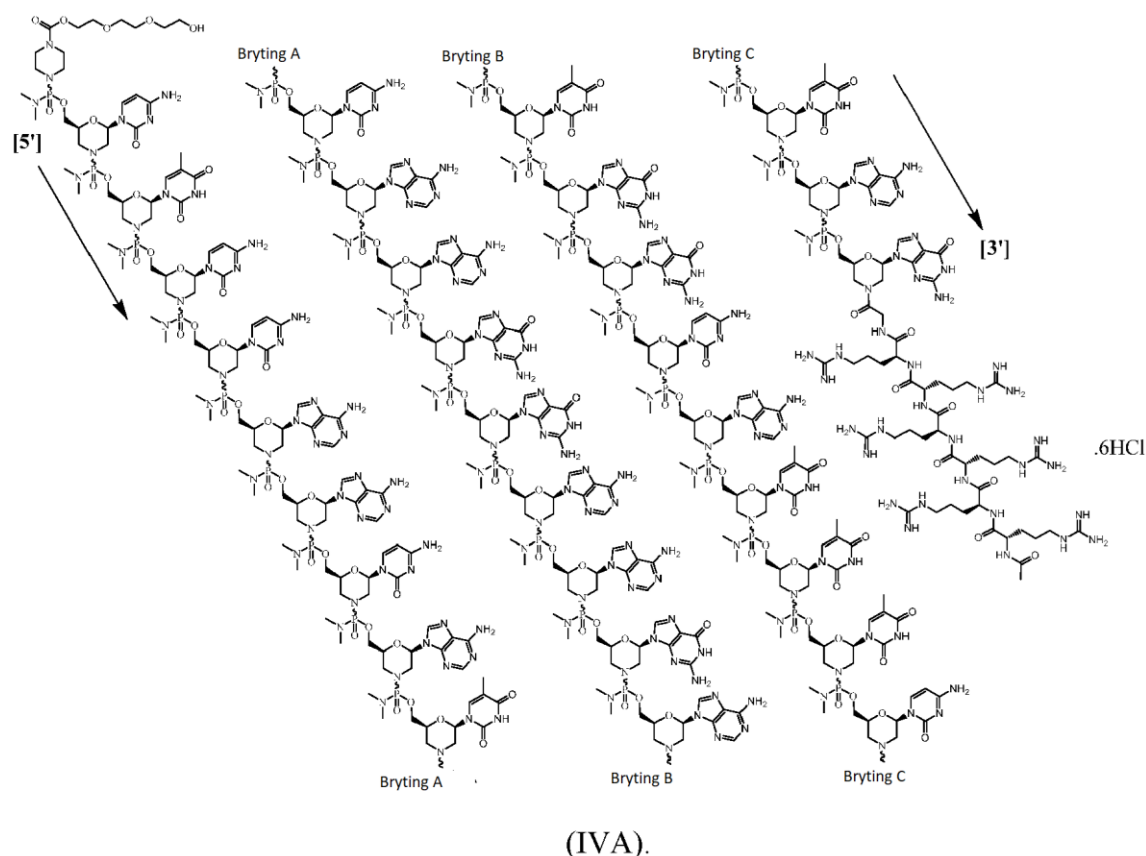
Enclosed is a translation of the patent claims in Norwegian. Please note that as per the Norwegian Patents Acts, section 66i the patent will receive protection in Norway only as far as there is agreement between the translation and the language of the application/patent granted at the EPO. In matters 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. Antisens oligomer-konjugat av formelen (IV):**

(IV)

5 eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette.

2. Antisens-oligomer-konjugat i henhold til krav 1, der antisens-oligomeret er av formelen (IVA):



3. Farmasøytisk sammensetning som omfatter et antisens-oligomer-konjugat i henhold til krav 1 eller 2, eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette, og en farmasøytisk akseptabel bærer.

4. Antisens-oligomer-konjugatet eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette i henhold til krav 1 eller 2, til bruk i behandling.

5. Antisens-oligomer-konjugat eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette i henhold til krav 1 eller 2, eller den farmasøytiske sammensetningen i henhold til krav 3, til bruk i behandlingen av Duchennes muskeldystrofi (DMD) på en pasient som trenger dette, der pasienten oppviser en mutasjon av dystrofinenet som er tilgjengelig for exon 51-skiping.

6. Antisens-oligomer-konjugat eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette i henhold til krav 1 eller 2, eller den farmasøytiske sammensetningen i henhold til krav 3, til bruk i restaurering av en mRNA-leseramme for å indusere dystrofinproduksjon på en pasient som oppviser en mutasjon av dystrofinenet som er tilgjengelig for exon 51-skiping.

7. Antisens-oligomer-konjugat eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette, eller den farmasøytiske sammensetningen, til bruk i henhold til krav 5 eller krav 6, der bruken omfatter administrering av antisens-oligomer-konjugatet hver uke.
- 5 8. Antisens-oligomer-konjugat eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette, eller den farmasøytiske sammensetningen, til bruk i henhold til krav 5 eller krav 6, der bruken omfatter administrering av antisens-oligomer-konjugatet annenhver uke.
9. Antisens-oligomer-konjugat eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette, eller
10 den farmasøytiske sammensetningen, til bruk i henhold til krav 5 eller krav 6, der bruken omfatter administrering av antisens-oligomer-konjugatet hver tredje uke.
10. Antisens-oligomer-konjugat eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette, eller den farmasøytiske sammensetningen, til bruk i henhold til krav 5 eller krav 6, der bruken
15 omfatter administrering av antisens-oligomer-konjugatet hver måned.
11. Farmasøytisk sammensetning i henhold til krav 3, til bruk ved fjerning av exon 51 fra dystrofin-pre-mRNA under mRNA-prosessering på en pasient som har en mutasjon av dystrofingenet som er tilgjengelig for exon 51-skiping.
- 20 12. Farmasøytisk sammensetning i henhold til krav 3, til bruk ved bindingen av exon 51 til dystrofin-pre-mRNA på en pasient som har en mutasjon av dystrofingenet som er tilgjengelig for exon 51-skiping.