



(12) Translation of  
European patent specification

(11) NO/EP 3554554 B1

NORWAY

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

**Norwegian Industrial Property Office**

---

(45) Translation Published 2022.11.14

(80) Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent 2022.09.07

(86) European Application Nr. 17832405.9

(86) European Filing Date 2017.12.14

(87) The European Application's Publication Date 2019.10.23

(30) Priority 2016.12.19, US, 201662436199 P  
2017.01.06, US, 201762443481 P  
2017.03.30, US, 201762479177 P  
2017.09.22, US, 201762562119 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

---

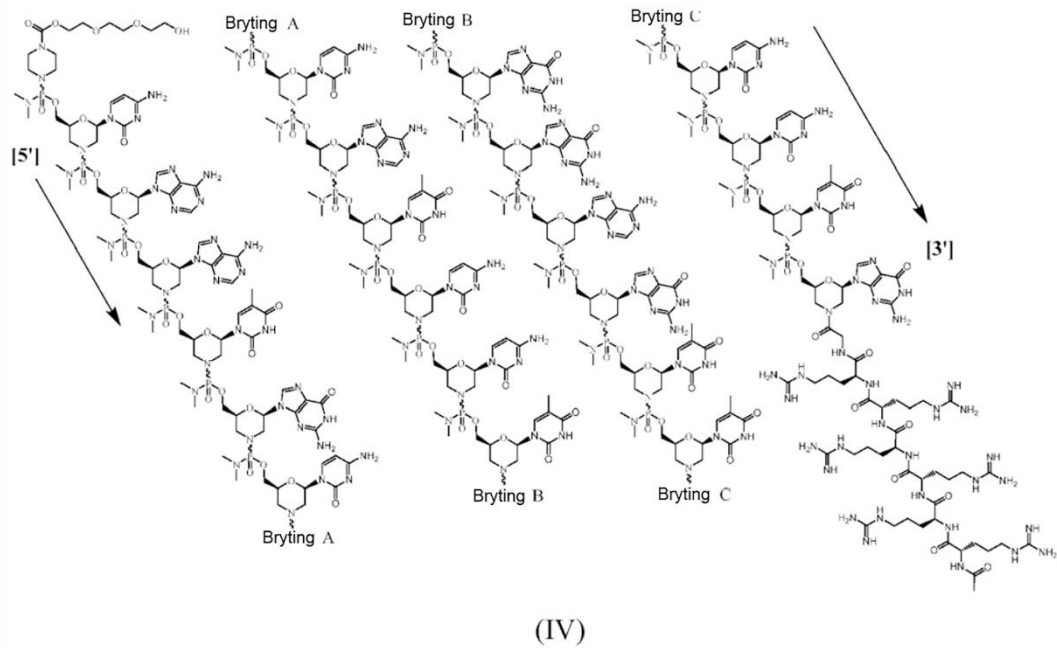
(54) Title **EXON SKIPPING OLIGOMER CONJUGATES FOR MUSCULAR DYSTROPHY**

(56) References Cited: WO-A1-2010/048586  
WO-A2-2014/153220  
WO-A1-2012/150960  
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/>

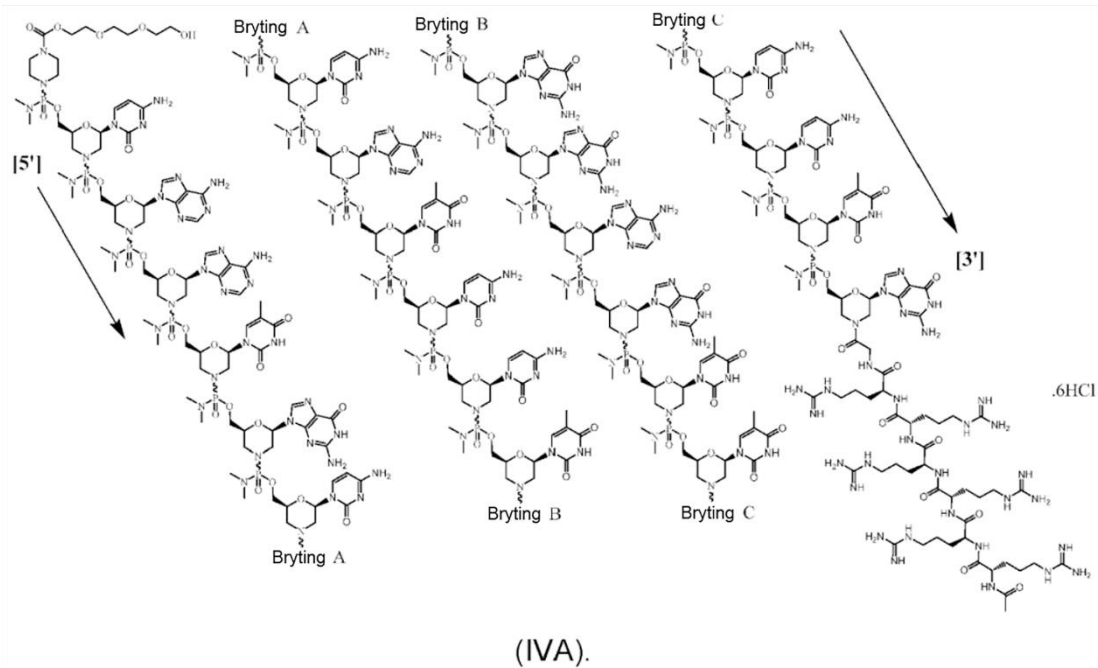
## Patentkrav

### 1. Antisens oligomer-konjugat av formelen (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.
- 5 4. Antisens-oligomer-konjugatet eller et farmasøytisk akseptabelt salt av dette i henhold til krav 1 eller 2, til bruk i behandling.
- 10 5. Antisens-oligomer-konjugat eller 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 dystrofingenet som er tilgjengelig for exon 45-skiping.
- 15 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 dystrofingenet som er tilgjengelig for exon 45-skiping.
- 20 7. Antisens-oligomer-konjugat eller den farmasøytiske sammensetningen, til bruk i henhold til krav 5 eller krav 6, der bruken omfatter administrering av antisens-oligomer-konjugatet hver uke.
- 25 8. Antisens-oligomer-konjugat eller den farmasøytiske sammensetningen, til bruk i henhold til krav 5 eller krav 6, der bruken omfatter administrering av antisens-oligomer-konjugatet annenhver uke.
- 30 9. Antisens-oligomer-konjugat eller den farmasøytiske sammensetningen, til bruk i henhold til krav 5 eller krav 6, der bruken omfatter administrering av antisens-oligomer-konjugatet hver tredje uke.
- 35 10. Antisens-oligomer-konjugat eller den farmasøytiske sammensetningen, til bruk i henhold til krav 5 eller krav 6, der bruken omfatter administrering av antisens-oligomer-konjugatet hver måned.
11. Farmasøytisk sammensetning i henhold til krav 3, til bruk ved fjerning av exon 45 fra dystrofin-pre-mRNA under mRNA-prosessering på en pasient som har en mutasjon av dystrofingenet som er tilgjengelig for exon 45-skiping.

12. Farmasøytisk sammensetning i henhold til krav 3, til bruk ved bindingen av exon 45 til dystrofin-pre-mRNA på en pasient som har en mutasjon av dystrofingenet som er tilgjengelig for exon 45-skiping.