



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3679141 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12N 15/113 (2010.01)
A61K 31/713 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2023.10.16
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2023.06.07
(86)	European Application Nr.	18867097.0
(86)	European Filing Date	2018.10.12
(87)	The European Application's Publication Date	2020.07.15
(30)	Priority	2017.10.13, US, 201762572398 P 2017.10.13, US, 201762572403 P 2018.09.04, US, 201862726950 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	Novo Nordisk Health Care AG, The Circle 32/38 8058 Zürich, Sveits
(72)	Inventor	BROWN, Bob, D., c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA DUDEK, Henryk, T., c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA SAXENA, Utsav, c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA PURSELL, Natalie, c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA LAI, Cheng, c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA WANG, Weimin, c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA STORR, Rachel, c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA NAZEF, Naim, c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA KIM, Boyoung, c/o Dicerna Pharmaceuticals, Inc. 33, Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA
(74)	Agent or Attorney	ONSAGERS AS, Postboks 1813, Vika, 0123 OSLO, Norge

(54)	Title	METHODS AND COMPOSITIONS FOR INHIBITING EXPRESSION OF LDHA
(56)	References Cited:	WO-A1-2016/100401 WO-A1-2016/057932

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/>

FREMGANGSMÅTER OG SAMMENSETNINGER FOR INHIBERING AV EKSPRESJON AV LDHA

PATENTKRAV

5

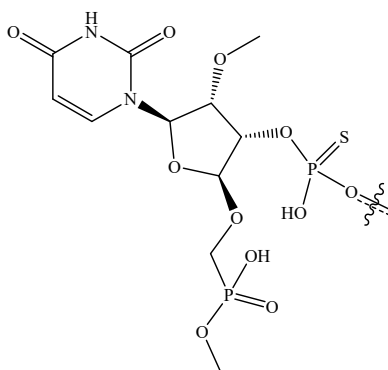
1. Oligonukleotid for å redusere ekspresjon av laktatdehydrogenase A (LDHA), oligonukleotidet omfattende en antisensetråd som har en sekvens angitt som UCAGAUAAAAAGGACAACAUGG (SEQ ID NO: 1) og en sensetråd som har en sekvens angitt som AUGUUGUCCUUUUUAUCUGAGCAGCCGAAAGGCUGC (SEQ ID NO: 2),

10 hvori alle posisjonene 1, 2, 4, 6, 7, 12, 14, 16, 18–26 og 31–36 til sensetråden og posisjonene 1, 6, 8, 11–13, 15, 17 og 19–22 til antisensetråden modifiseres med et 2'-O-metyl, og alle posisjonene 3, 5, 8–11, 13, 15 og 17 til sensetråden og posisjonene 2–5, 7, 9, 10, 14, 16 og 18 til antisensetråden modifiseres med et 2'-fluor;

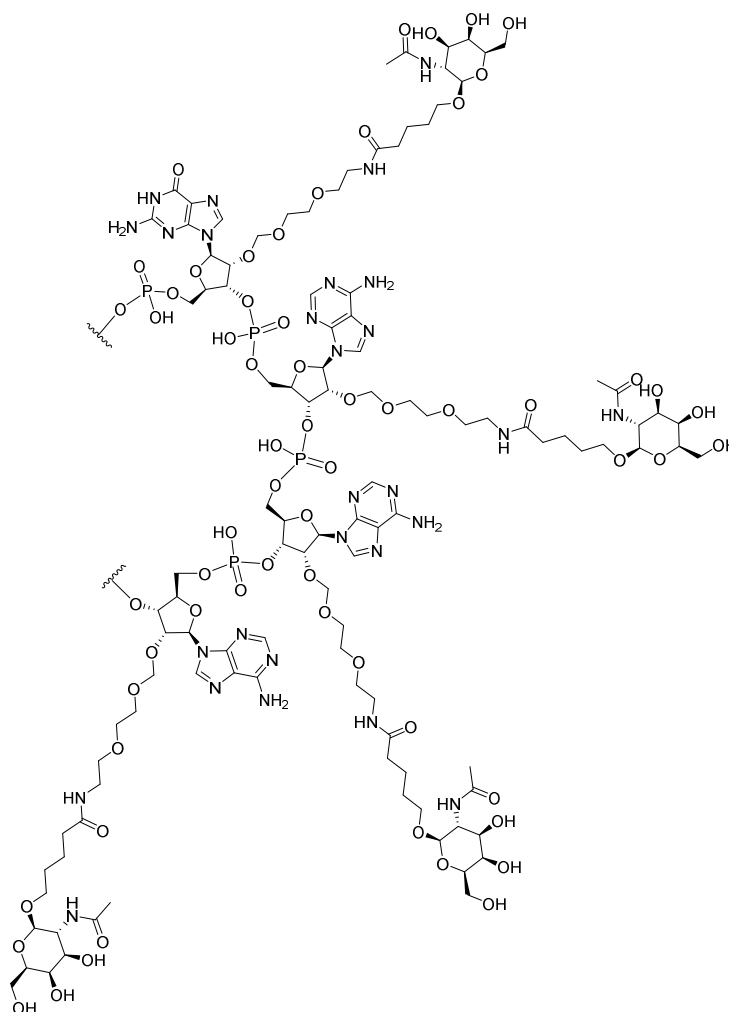
hvor oligonukleotidet har en fosfortioatbinding mellom hver av:

15 posisjonene 1 og 2 til sensetråden, posisjonene 1 og 2 til antisensetråden, posisjonene 2 og 3 til antisensetråden, posisjonene 3 og 4 til antisensetråden, posisjonene 20 og 21 til antisensetråden og posisjonene 21 og 22 til antisensetråden;

hvor oligonukleotidet omfatter følgende struktur i posisjon 1 til antisensetråden:



20 hvori hvert av nukleotidene til -GAAA-sekvensen på sensetråden konjugeres til en monovalent GalNac-enhet for slik å omfatte struktur:



2. Farmasøytisk sammensetning omfattende oligonukleotidet ifølge krav 1 for å redusere ekspresjonen av LDHA.

5

3. Sammensetning omfattende oligonukleotidet ifølge krav 1 og videre omfattende Na^+ -motstykker.

4. Oligonukleotid ifølge krav 1 eller sammensetning ifølge krav 2 eller krav 3 for anvendelse i behandling av et individ som har eller har risiko for å ha en primær hyperoksaluri valgt fra PH1, PH2, PH3 og/eller idiopatisk hyperoksaluri, fremgangsmåten omfattende å redusere ekspresjon av LDHA-protein i hepatocytter hos individet ved administrering av oligonukleotidet eller sammensetningen.

10

5. Oligonukleotid eller sammensetning for anvendelse ifølge krav 4, hvori individet har eller har risiko for å ha en primær hyperoksaluri.

15

6. Oligonukleotid eller sammensetning for anvendelse ifølge krav 4 eller krav 5, hvori oligonukleotidet eller sammensetningen administreres til individet intravenøst eller subkutant.