



(12) Translation of  
European patent specification

(11) NO/EP 3728610 B1

NORWAY

(19) NO  
(51) Int Cl.  
**C12N 15/86 (2006.01)**  
**A61K 48/00 (2006.01)**  
**C07K 14/435 (2006.01)**

**Norwegian Industrial Property Office**

|      |                                                                      |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
|------|----------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| (45) | Translation Published                                                | 2023.08.07                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
| (80) | Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent | 2023.05.31                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
| (86) | European Application Nr.                                             | 18826078.0                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
| (86) | European Filing Date                                                 | 2018.12.21                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
| (87) | The European Application's Publication Date                          | 2020.10.28                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
| (30) | Priority                                                             | 2017.12.22, EP, 17306915                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             |
| (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                                                           | Sparingvision, 5-7, avenue Percier, 75008 Paris, Frankrike<br>INSERM (Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale), 101 rue de Tolbiac, 75013 Paris, Frankrike<br>SORBONNE UNIVERSITE, 21 rue de l'École de Médecine, 75006 Paris, Frankrike                                                                                                                                                                           |
| (72) | Inventor                                                             | LEVEILLARD, Thierry, 47 rue Bourgelat, 94700 Maisons-Alfort, Frankrike<br>AÏT-ALI MAAMRI, Najate, 8 rue du Terrage, 75010 Paris, Frankrike<br>BLOND, Frédéric, 4 villa Marionette, 94210 La Varenne Saint, Frankrike<br>SAHEL, José-Alain, 4 rue Dieulafoy, 75013 Paris, Frankrike<br>PUEL, Géraldine, 13 rue Aristide Briand, 77400 Thorigny sur Marne, Frankrike<br>CLERIN, Emmanuelle, 5 Chemin des Rois, 91350 Grigny, Frankrike |
| (74) | Agent or Attorney                                                    | Valea AB, Box 1098, 40523 GÖTEBORG, Sverige                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                          |

|      |                   |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       |
|------|-------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| (54) | Title             | <b>CONSTRUCTS COMPRISING NEURONAL VIABILITY FACTORS AND USES THEREOF</b>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
| (56) | References Cited: | WO-A1-2016/185037<br>WO-A1-2017/120294<br>LEAH C. BYRNE ET AL: "Viral-mediated RdCVF and RdCVFL expression protects cone and rod photoreceptors in retinal degeneration", JOURNAL OF CLINICAL INVESTIGATION, vol. 125, no. 1, 21 November 2014 (2014-11-21), pages 105-116, XP055230095, US ISSN: 0021-9738, DOI: 10.1172/JCI65654<br>Leah Caroline Thomas Byrne: "Engineered Adeno-Associated Viral Vectors for Gene Therapy in the Retina", UC Berkeley Electronic Theses and Dissertations, 1 January 2011 (2011-01-01), pages 1-81, XP055469692, Retrieved from the Internet:<br>URL: <a href="https://escholarship.org/uc/item/3zz024j8">https://escholarship.org/uc/item/3zz024j8</a> [retrieved on 2018-04-23] |

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/>

EP 3 728 610 B1

## Tittel

KONSTRUKTER OMFATTENDE NEVRONALE VIABILITETSFAKTORER OG  
ANVENDELSER DERAU

## Patentkrav

## 1. Adeno-assosiert vektor (AAV) omfattende:

- en første ekspresjonskassett omfattende en første nukleinsyre som koder for den korte isoformen av stavavledet tappviabilitetsfaktor (RdCVF), og
- en andre ekspresjonskassett omfattende en andre nukleinsyre som koder for den lange isoformen av den stavavlede tappviabilitetsfaktoren (RdCVFL),

hvor den første og den andre ekspresjonskassetten oppviser høyst 70 sammenhengende identiske nukleotider.

2. AAV ifølge krav 1, hvor den første og den andre ekspresjonskassetten oppviser høyst 54 sammenhengende identiske nukleotider.

3. AAV ifølge krav 1, hvor den første og den andre ekspresjonskassetten oppviser høyst 9 sammenhengende identiske nukleotider.

4. AAV ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 3, hvor AAV er en serotype AAV2/8.

5. AAV ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 4, hvor den første nukleinsyren som koder for RdCVF er under kontroll av en allestedsnærværende promotor, fortrinnsvis CMV/CBA-promotoren.

6. AAV ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 5, hvor den andre nukleinsyren som koder for RdCVFL er under kontroll av tapp-opsin-promotoren.

7. AAV ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 6, hvor AAV-en har en nukleinsyresekvens som fremsatt i gruppen som består av SEKV ID NO: 6, SEKV ID

NO: 8, SEKV ID NO: 9 og SEKV ID NO: 14.

8. AAV ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 6, hvori AAV-en har en nukleinsyresekvens som fremsatt i SEKV ID NO: 6.

9. AAV ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 6, hvori AAV-en videre omfatter en stuffersekvens av SEKV ID NO: 10.

10. AAV ifølge krav 1, hvori den første nukleinsyren omfatter et kodonoptimalisert cDNA som koder for RdCVF som fremsatt i SED IQ NO: 12, eller hvori den andre nukleinsyren omfatter et kodonoptimalisert cDNA som koder for RdCVFL som fremsatt i SED IQ NO: 13.

11. Farmasøytisk sammensetning omfattende en AAV ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 10 og en farmasøytisk akseptabel bærer.

12. AAV ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 10, hvori AAV-en er for anvendelse i en fremgangsmåte for behandling av en retinal nevrodegenerativ lidelse.

13. AAV for anvendelse ifølge krav 12, hvori den retinale nevrodegenerative lidelsen er valgt i gruppen som består av: retinitis pigmentosa, aldersrelatert makuladegenerasjon, Bardet-Biedl-syndrom, Bassen-Komzweig-syndrom, Bestsykdom, choroidema, gyratatrofi, Lebers medfødte amaurose, Refsums sykdom, Stargardts sykdom og Ushers syndrom.

14. AAV for anvendelse ifølge krav 12, hvori den retinale nevrodegenerative lidelsen er retinitis pigmentosa.

15. AAV for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 12 til 14, hvori AAV administreres ved sub-retinal injeksjon.