



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 4273241 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C12N 5/07 (2010.01)
A61K 48/00 (2006.01)
C12N 5/10 (2006.01)
C12N 9/40 (2006.01)
C12N 15/09 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2025.02.24
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.12.04
(86)	European Application Nr.	23191307.0
(86)	European Filing Date	2015.09.30
(87)	The European Application's Publication Date	2023.11.08
(30)	Priority	2014.09.30, US, 201462057842 P 2014.09.30, US, 201462057847 P 2015.02.05, US, 201562112463 P 2015.03.19, US, 201562135345 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
(62)	Divided application	EP3201320, 2015.09.30
(73)	Proprietor	Amicus Therapeutics, Inc., 3675 Market Street, Philadelphia, PA 19104, USA
(72)	Inventor	Gotschall, Russell, Doylestown, PA 18901, USA Do, Hung, New Hope, PA 18938, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54)	Title	HIGHLY POTENT ACID ALPHA-GLUCOSIDASE WITH ENHANCED CARBOHYDRATES
(56)	References Cited:	WO-A2-2005/077093 JOHAN VAN HOVE ET AL: "High-level production of recombinant human lysosomal acid a-glucosidase in Chinese hamster ovary cells which targets to heart muscle and corrects glycogen accumulation in fibroblasts from patients with Pompe disease", PROCEEDINGS OF THE NATIONAL ACADEMY OF SCIENCES OF THE UNITED STATES OF AMERICA [H.W. WILSON - GS], 9 January 1996 (1996-01-09), pages 65 - 70, XP055133632, Retrieved from the Internet <URL:http://search.proquest.com/docview/230227321> DOI: 10.1073/pnas.93.1.65 MARTINIUK F ET AL: "Correction of glycogen storage disease type II by enzyme replacement with a recombinant human acid maltase produced by over-expression in a CHO-DHFRneg cell line", BIOCHEMICAL AND BIOPHYSICAL RESEARCH COMMUNICATIONS, ELSEVIER, AMSTERDAM, NL, vol. 276, no. 3, 5 October 2000 (2000-10-05), pages 917 - 923, XP002262096, ISSN: 0006-291X, DOI: 10.1006/BBRC.2000.3555

MCVIE-WYLIE A J ET AL: "Biochemical and pharmacological characterization of different recombinant acid alpha-glucosidase preparations evaluated for the treatment of Pompe disease", MOLECULAR GENETICS AND METABOLISM, ACADEMIC PRESS, AMSTERDAM, NL, vol. 94, no. 4, 1 August 2008 (2008-08-01), pages 448 - 455, XP022833455, ISSN: 1096-7192, [retrieved on 20080605], DOI: 10.1016/J.YMGME.2008.04.009

AMALFITANO ANDREA ET AL: "Recombinant human acid alpha-glucosidase enzyme therapy for infantile glycogen storage disease type II: Results of a phase I/II clinical trial", GENETICS IN MEDICINE, WILLIAMS AND WILKINS, BALTIMORE, MD, US, vol. 3, no. 2, 1 March 2001 (2001-03-01), pages 132 - 138, XP002184189, ISSN: 1098-3600, DOI: 10.1097/00125817-200103000-00008

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. Sammensetning omfattende rekombinant human syre alfa-glukosidase (rhGAA) fremstilt av ovarieceller fra kinesisk hamster (CHO), hvori 40 %-60 % av de totale N-glykanene på rhGAA i sammensetningen er kompleks type N-glykaner og i gjennomsnitt inneholder N-glykaner mer enn 3 mol mannose-6-fosfat (M6P) per mol rhGAA.
2. Sammensetningen ifølge krav 1, hvori rhGAA i gjennomsnitt bærer 2,0 til 8,0 sialinsyrerester per mol rhGAA.
3. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av kravene 1 eller 2, hvori N-glykanene i gjennomsnitt inneholder mer enn 4 mol sialinsyre per mol rhGAA.
4. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori det gjennomsnittlige innholdet av N-glykaner som bærer M6P varierer fra 3,0 til 7,0 mol per mol rhGAA.
5. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori minst 3 %-10 % av de totale glykanene på rhGAA er i form av monofosforylert mannose-6-fosfat (mono-M6P)-glykan, minst 0,5-3,0 % av de totale glykanene på rhGAA er i form av et bis-fosforylert mannose-6-fosfat (bis-M6P)-glykan, og i gjennomsnitt inneholder mindre enn 25 % av total rhGAA ingen fosforylert glykanbinding til CIMPR.
6. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori minst 3 % av de totale glykanene på rhGAA er bis-M6P-glykaner.
7. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori 45-55 % av de totale N-glykanene på rhGAA i sammensetningen er kompleks type N-glykaner.
8. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori 50 % av de totale N-glykanene på rhGAA i sammensetningen er kompleks type N-glykaner.
9. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, hvori rhGAA fremstilles av CHO-celler transformert med en DNA-konstruksjon som koder for SEQ ID NO: 4.

10. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, videre omfattende et farmakologisk chaperon.

5 11. Sammensetningen ifølge krav 10, hvori det farmakologiske chaperonet velges fra gruppen som består av 1-deoksynojirimycin eller et salt derav og N-butyl-deoksynojirimycin eller et salt derav.

12. Sammensetningen ifølge et hvilket som helst av de foregående kravene, for anvendelse i behandlingen av Pompes sykdom.

10

13. Sammensetningen for anvendelse ifølge krav 12, hvori sammensetningen administreres til (a) hjertemuskelen til individet, (b) quadriceps, triceps eller annen skjelettmuskulatur til individet, eller (c) membranen til individet.

15 14. Sammensetningen for anvendelse ifølge krav 12 eller krav 13, hvori sammensetningen kombineres med, koadministreres med eller administreres separat sammen med en farmakologisk chaperon.

20 15. Sammensetningen for anvendelse ifølge krav 14, hvori den farmakologiske chaperonen velges fra gruppen som består av 1-deoksynojirimycin eller et salt derav og N-butyl-deoksynojirimycin eller et salt derav.