

(19)

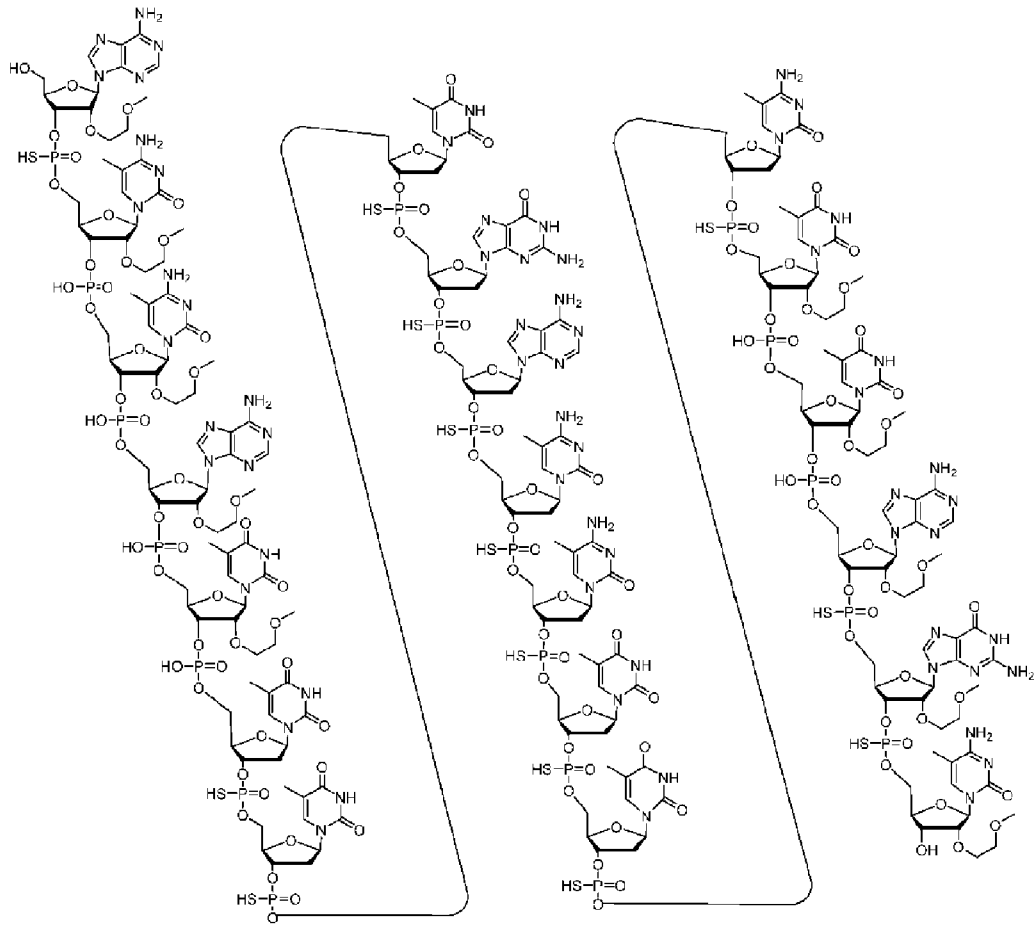


SUOMI - FINLAND
(FI)

PATENTTI- JA REKISTERIHALLITUS
PATENT- OCH REGISTERSTYRELSEN
FINNISH PATENT AND REGISTRATION OFFICE

- (10) **FI/EP3947684 T3**
- (12) **EUROOPPAPATENTIN KÄÄNNÖS
ÖVERSÄTTNING AV EUROPEISKT PATENT
TRANSLATION OF EUROPEAN PATENT SPECIFICATION**
- (45) Käännöksen kuulutuspäivä - Kungörelsedag av översättning - **27.05.2025**
Translation available to the public
- (97) Eurooppapatentin myöntämispäivä - Meddelandedatum för **09.04.2025**
det europeiska patentet - Date of grant of European patent
- (51) Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification
C12N 15/113 (2010.01)
- (96) Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan - **EP20784141.2**
European patent application
- (22) Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date **27.03.2020**
- (97) Patenttihakemuksen julkiseksitilopäivä - Patentansökans **09.02.2022**
publiceringsdag - Patent application available to the public
- (86) Kansainvälinen hakemus - Internationell **27.03.2020 PCT/US2020025110**
ansökan - International application
- (30) Etuoikeus - Prioritet - Priority
29.03.2019 US US201962826521 P 23.07.2019 US US20196287765 P

- (73) Haltija - Innehavare - Holder
1• Ionis Pharmaceuticals, Inc., 2855 Gazelle Court, Carlsbad, CA 92010, (US)
- (72) Keksijä - Uppfinnare - Inventor
1• FREIER, Susan M., 2855 Gazelle Ct., Carlsbad, California 92010, (US)
2• BUI, Huynh-Hoa, 2855 Gazelle Ct., Carlsbad, California 92010, (US)
3• JAFAR-NEJAD, Paymaan, 2855 Gazelle Ct., Carlsbad, California 92010, (US)
4• RIGO, Frank, 2855 Gazelle Ct., Carlsbad, California 92010, (US)
- (74) Asiamies - Ombud - Agent
Zacco Sweden AB, Box 5581, 11485 Stockholm, (SE)
- (54) Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention
YHDISTEITÄ JA MENETELMIÄ UBE3A-ATS:N MODULOIMISEKSI
COMPOUNDS AND METHODS FOR MODULATING UBE3A-ATS

Patenttivaatimukset**1. Muunneltu oligonukleotidi, jolla on seuraava kemiallinen rakenne:**

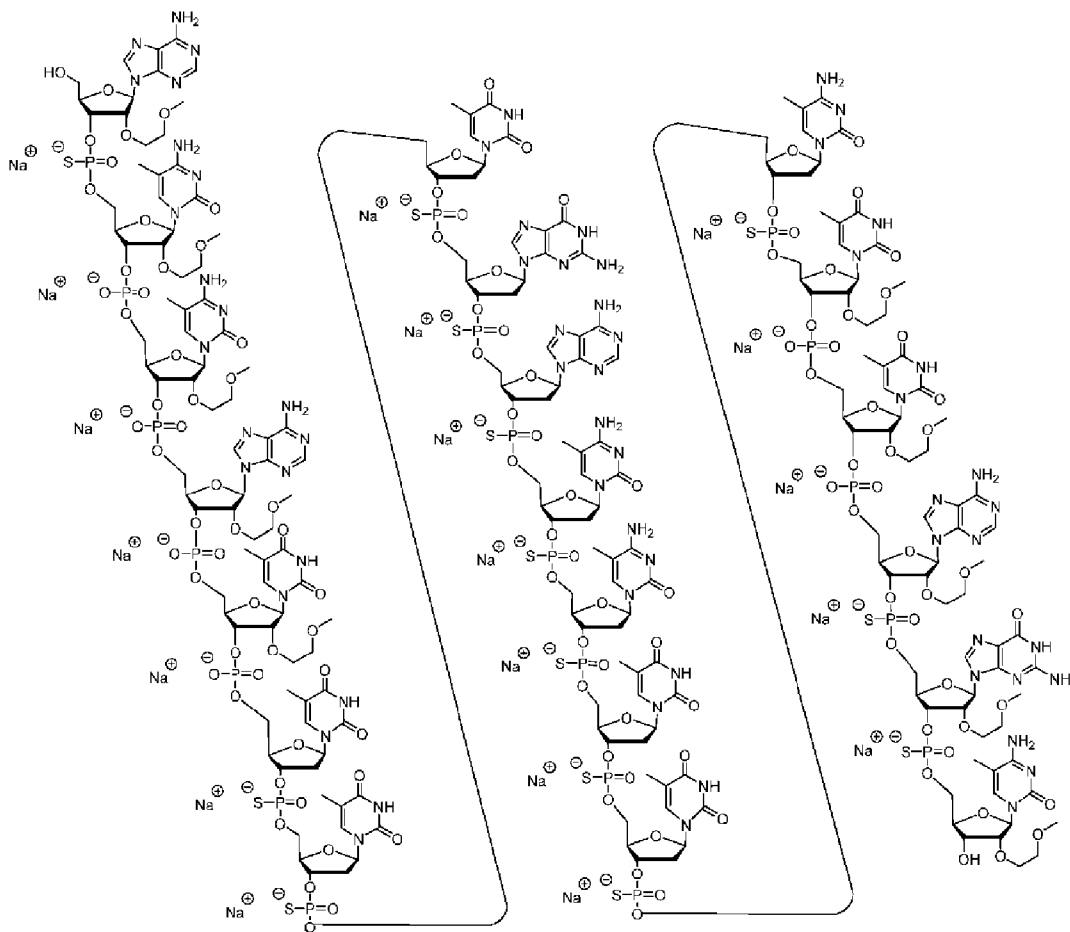
(SEQ ID NO: 2873).

tai sen suola.

5

2. Patenttivaatimuksen 1 mukainen muunneltu oligonukleotidi, joka on natriumsuola tai kaliumsuola.

3. Muunneltu oligonukleotidi, jolla on seuraava kemiallinen rakenne:



(SEQ ID NO: 2873).

- 5 **4.** Lääkekoostumus, joka käsittää patenttivaatimuksen 1 mukaista muunneltua oligonukleotidiä ja farmaseuttisesti hyväksyttävää laimennusainetta.
- 5.** Patenttivaatimuksen 4 mukainen lääkekoostumus, jossa farmaseuttisesti
- 10 hyväksyttävä laimennusaine on keinotekoinen aivo-selkäydinneste.
- 6.** Patenttivaatimuksen 5 mukainen lääkekoostumus, jolloin lääkekoostumus koostuu olennaisesti muunnellusta oligonukleotidista ja keinotekoisesta aivo-

selkäydinnesteestä.

7. Patenttivaatimuksen 3 mukaista muunneltua oligonukleotidiä ja farmaseuttisesti hyväksyttävää laimennusainetta käsittävä lääkekoostumus.

5

8. Patenttivaatimuksen 7 mukainen lääkekoostumus, jossa farmaseuttisesti hyväksyttävä laimennusaine on keinotekoinen aivo-selkäydinneste.

9. Patenttivaatimuksen 8 mukainen lääkekoostumus, jolloin lääkekoostumus koostuu olennaisesti muunnellusta oligonukleotidistä ja keinotekoisesta aivo-selkäydinnesteestä.

10. Yhdiste, joka käsittää muunneltua oligonukleotidiä, jolla on seuraava kemiallinen merkintä:

15 $A_{es}^m C_{eo}^m C_{eo} A_{eo} T_{ds} T_{ds} T_{ds} G_{ds} A_{ds}^m C_{ds}^m C_{ds} T_{ds} T_{ds}^m C_{ds} T_{eo} T_{eo} A_{es} G_{es}^m C_e$ (SEQ ID NO: 2873), jossa

A = adeniininukleoemäs

$^m C$ = 5-metyylisytyosiininukleoemäs

G = guaniininukleoemäs

20 T = tymiininukleoemäs

e = 2'-O(CH₂)₂OCH₃ β-D-ribosyyllisokeriosa

d = 2'-β-D-deoksiribosyyllisokeriosa

s = nukleosidien välinen fosforotioaattisidos ja

o = nukleosidien välinen fosfodiesterisidos.

25

11. Patenttivaatimuksen 10 mukaista yhdistettä ja farmaseuttisesti hyväksyttävää laimennusainetta käsittävä lääkekoostumus.

30 **12.** Patenttivaatimuksen 11 mukainen lääkekoostumus, jossa farmaseuttisesti hyväksyttävä laimennusaine on keinotekoinen aivo-

selkäydinneste.

13. Patenttivaatimuksen 12 mukainen lääkekoostumus, jolloin
lääkekoostumus koostuu olennaisesti kyseisestä yhdisteestä ja
5 keinotekoisesta aivo-selkäydinnesteestä.

14. Patenttivaatimuksen 10 mukainen yhdiste, joka käsittää muunneltua
oligonukleotidiä kovalenttisesti konjugaattiryhmään sitoutuneena.

10 **15.** Patenttivaatimuksen 14 mukaista yhdistettä ja farmaseuttisesti
hyväksyttävää laimennusainetta käsittävä lääkekoostumus.

16. Patenttivaatimuksen 15 mukainen lääkekoostumus, jossa
farmaseuttisesti hyväksyttävä laimennusaine on keinotekoinen aivo-
15 selkäydinneste.

17. Patenttivaatimuksen 16 mukainen lääkekoostumus, jolloin
lääkekoostumus koostuu olennaisesti kyseisestä yhdisteestä ja
keinotekoisesta aivo-selkäydinnesteestä.