

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

FI/EP3442602 T3

(12)

**EUROOPPAPATENTIN KÄÄNNÖS
ÖVERSÄTTNING AV EUROPEISKT PATENT
TRANSLATION OF EUROPEAN PATENT SPECIFICATION**

(45)

Käännöksen kuulutuspäivä - Kungörelsedag av översättning -
Translation available to the public

16.05.2025

(97)

Eurooppapatentin myöntämispäivä - Meddelandedatum för
det europeiska patentet - Date of grant of European patent

19.02.2025

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification
A61K 48/00 (2006 . 01)
C12N 15/11 (2006 . 01)
C12N 15/113 (2010 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP17783236.7

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

14.04.2017

(97)

Patenttihakemuksen julkiseksitulosopäivä - Patentansökans
publiceringsdag - Patent application available to the public

20.02.2019

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

14.04.2017 PCT/US2017027636

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

15.04.2016 US US201662323163 P

17.03.2017 US US201762473253 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• Research Institute at Nationwide Children's Hospital, 700 Children's Drive, Room W172, , Columbus, Ohio 43205 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• RODINO-KLAPAC, Louise, 4912 Bixby Ridge Drive E, Groveport, OH 43125 , (US)

2• MENDELL, Jerry, R., 8176 Copperfield Drive , Columbus, OH 43235 , (US)

3• HELLER, Kristin, N., The Research Institute At Nationwide Children's Hospital 700 Children's Drive , Columbus, OH 43205 , (US)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Papula Oy, P.O.Box 981 , 00101 Helsinki , (FI)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

**MIKRODYSTROFIININ ANTO ADENO-ASSIOITUNEELLA VIRUSVEKTORILLA LIHASDYSTROFIAN HOITAMISEKSI
ADENO-ASSOCIATED VIRUS VECTOR DELIVERY OF MICRO-DYSTROPHIN TO TREAT MUSCULAR DYSTROPHY**

PATENTTIVAATIMUKSET

1. Rekombinantti AAVrh74-vektori, joka käsittää lihasspesifisen säätelyelementin, joka on toiminnallisesti yhdistetty nukleotidisekvenssiin SEQ ID NO: 7.

2. Patenttivaatimuksen 1 mukainen rekombinantti AAVrh74-vektori, jossa lihasspesifinen säätelyelementti on peräisin lihaskreatiinikinaasista (MCK).

3. Patenttivaatimuksen 2 mukainen rekombinantti AAVrh74-vektori, jossa lihasspesifinen säätelyelementti käsittää nukleotidisekvenssin SEQ ID NO: 10 tai SEQ ID NO: 11.

4. Koostumus, joka käsittää jonkin patenttivaatimuksista 1-3 mukaisen rekombinantti AAVrh74-vektorin ja farmaseuttisesti hyväksyttävän kantajan.

5. Jonkin patenttivaatimuksista 1-3 mukainen rekombinantti AAVrh74-vektori tai patenttivaatimuksen 4 mukainen koostumus käytettäväksi lihasdystrofian hoidossa.

6. Jonkin patenttivaatimuksista 1-3 mukainen rekombinantti AAVrh74-vektori tai patenttivaatimuksen 4 mukainen koostumus käytettäväksi fibroosin vähentämiseksi tai estämiseksi lihasdystrofiaa sairastavalla kohteella.

7. Jonkin patenttivaatimuksista 1-3 mukainen rekombinantti AAVrh74-vektori tai patenttivaatimuksen 4 mukainen koostumus käytettäväksi lihasvoiman tai lihasmassan lisäämiseksi lihasdystrofiaa sairastavalla kohteella.

8. Rekombinantti AAVrh74-vektori tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 5-7 mukaisesti, jossa rekombinantti AAVrh74-vektori tai koostumus annetaan ennen kuin kohteella havaitaan fibroosia tai ennen kuin lihasvoima vähenee kohteella tai ennen kuin lihasmassa vähenee kohteella.

9. Rekombinantti AAVrh74-vektori tai koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 5-8 mukaisesti, jossa kohde kärsii Duchennen lihasdystrofiasta.

5 10. In vitro -menetelmä funktionaalisen mikrodystrofiiniproteiinin tuottamiseksi, joka käsittää isäntäsolun infektoimisen jonkin patenttivaatimuksista 1-3 mukaisella rekombinantilla AAVrh74-vektorilla ja funktionaalisen mikrodystrofiiniproteiinin ilmentämisen isäntäsolussa.