

(19)



SUOMI - FINLAND  
(FI)

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

(10)

**FI/EP3784269 T3**

(12)

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

(45) Käännöksen kuulutuspäivä - Kungörelsedag av översättning - **03.07.2024**  
Translation available to the public

(97) Eurooppapatentin myöntämispäivä - Meddelandedatum för **05.06.2024**  
det europeiska patentet - Date of grant of European patent

(51) Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -  
International patent classification  
**A61K 47/54** ( 2017 . 01 )  
**C07K 14/705** ( 2006 . 01 )

(96) Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan - **EP19794009.1**  
European patent application

(22) Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date **26.04.2019**

(97) Patenttihakemuksen julkiseksitilopäivä - Patentansökans **03.03.2021**  
publiceringsdag - Patent application available to the public

(86) Kansainvälinen hakemus - Internationell **26.04.2019 PCT/US2019029393**  
ansökan - International application

(30) Etuoikeus - Prioritet - Priority  
27.04.2018 US US201862663763 P 09.01.2019 US US201962790372 P

(73) Haltija - Innehavare - Holder  
**1• Arrowhead Pharmaceuticals, Inc. , 177 E. Colorado Boulevard, Suite 700 , Pasadena, CA 91105 , (US)**

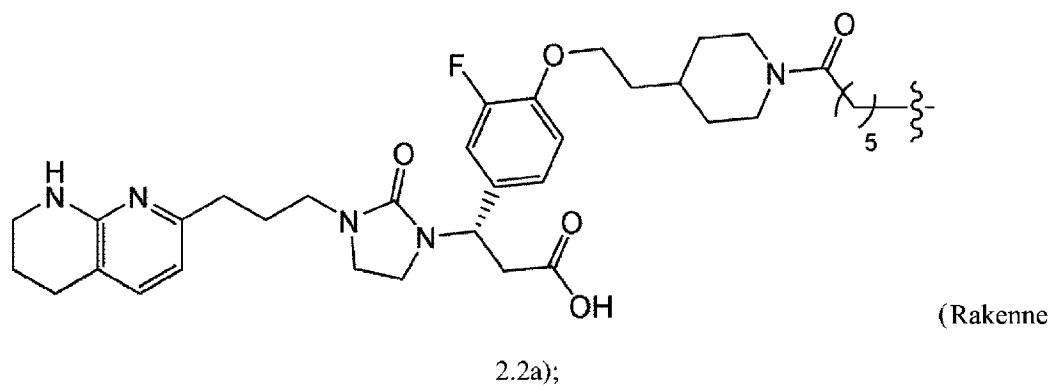
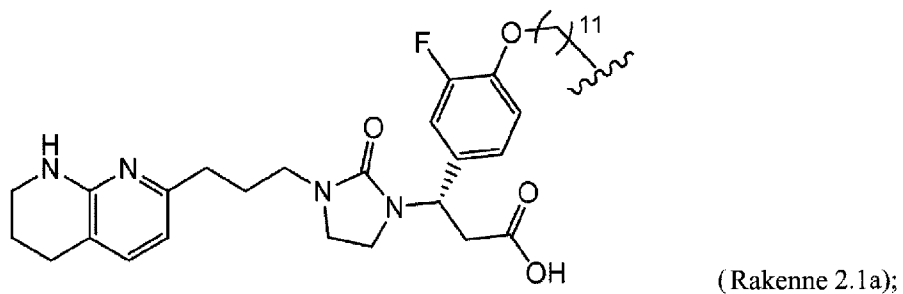
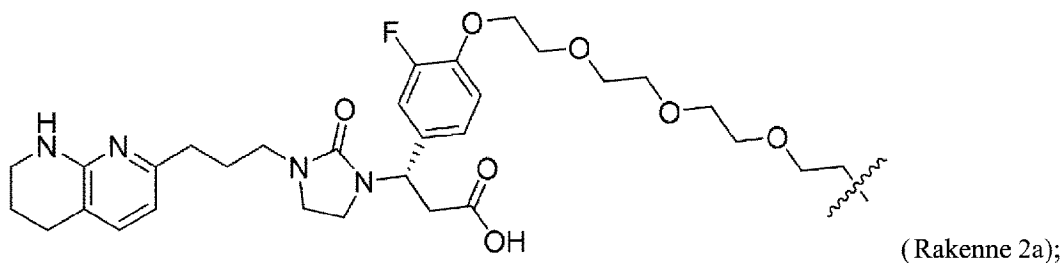
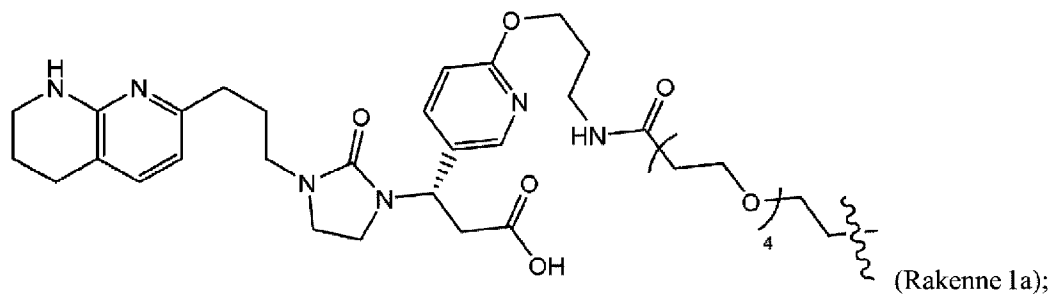
(72) Keksijä - Uppfinnare - Inventor  
**1• Li, Zhen , 6 Hawthorn Drive , Westfield, NJ 07090 , (US)**  
**2• CARLSON, Jeffrey , Arrowhead Pharmaceuticals, Inc. 502 S. Rosa Road , Madison, WI 53719 , (US)**  
**3• NICHOLAS, Anthony , Arrowhead Pharmaceuticals, Inc. 502 S. Rosa Road , Madison, WI 53719 , (US)**  
**4• Li, Xiaokai , Arrowhead Pharmaceuticals, Inc. 502 S. Rosa Road , Madison, WI 53719 , (US)**  
**5• SHU, Dongxu , Arrowhead Pharmaceuticals, Inc. 502 S. Rosa Road , Madison, WI 53719 , (US)**  
**6• FOWLER-WATTERS, Matthew , Arrowhead Pharmaceuticals, Inc. 502 S. Rosa Road , Madison, WI 53719 , (US)**

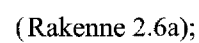
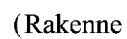
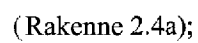
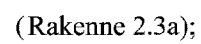
(74) Asiamies - Ombud - Agent  
**Novagraaf International SA , Chemin de l'Echo, 3 , 1213 Onex , (CH)**

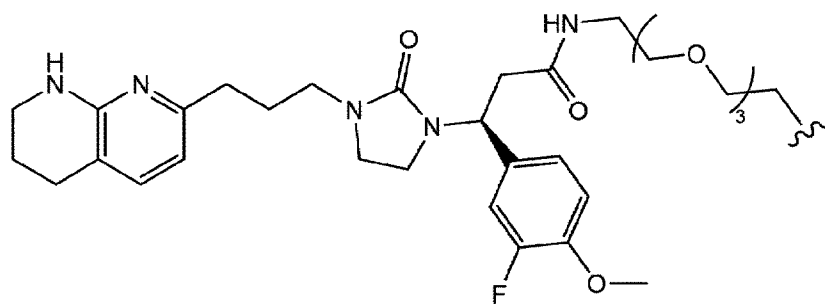
(54) Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention  
**INTEGRIINIIN KOHDENTUVIA LIGANDEJA JA NIIDEN KÄYTTÖTAPOJA**  
**INTEGRIN TARGETING LIGANDS AND USES THEREOF**

## PATENTTIVAATIMUKSET

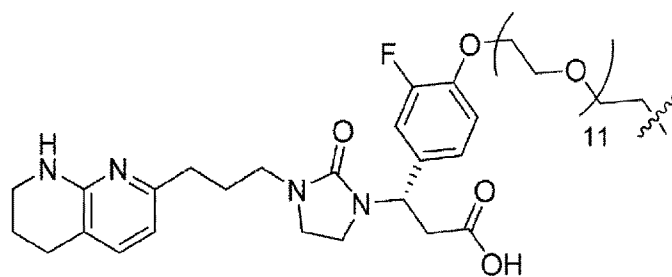
5



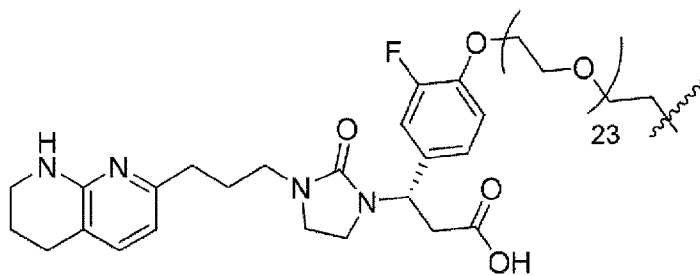




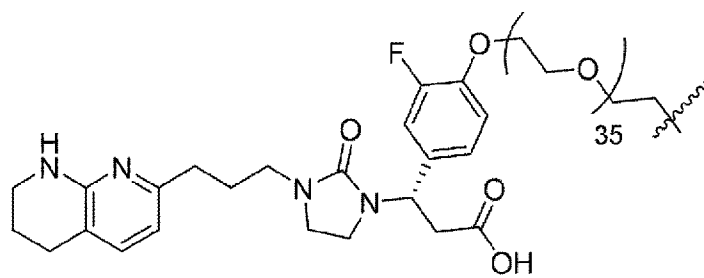
(Rakenne 2.7a);



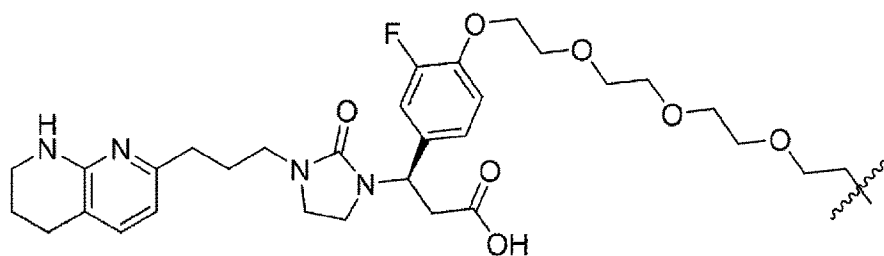
(Rakenne 2.8a);



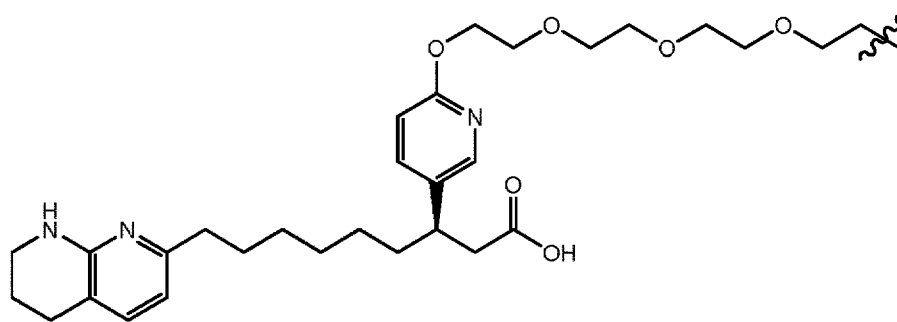
(Rakenne 2.9a);



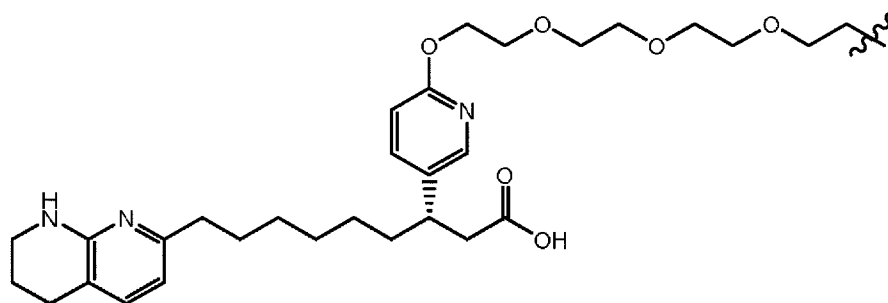
(Rakenne 2.10a);



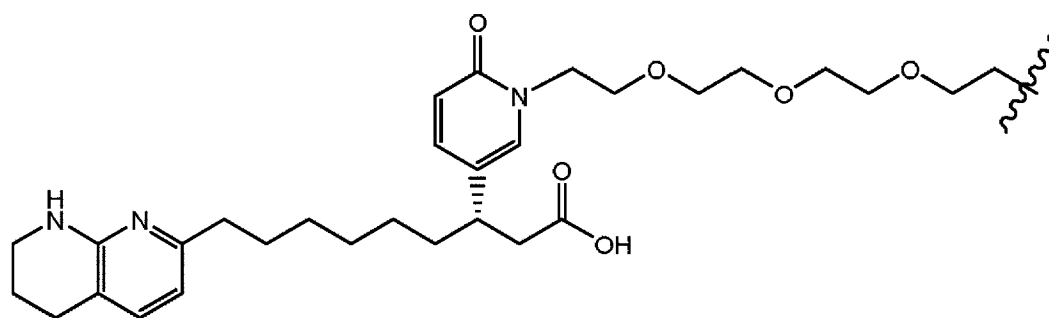
(Rakenne 2.11a);



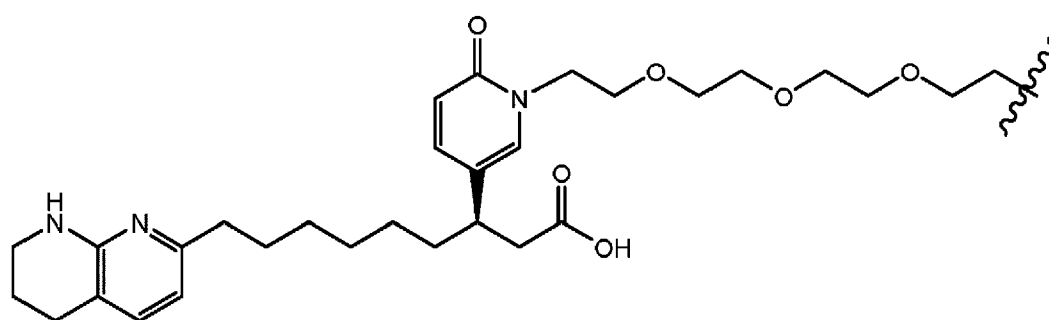
(Rakenne 28a);



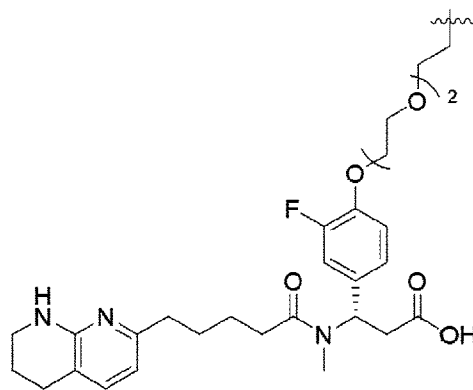
(Rakenne 29a);



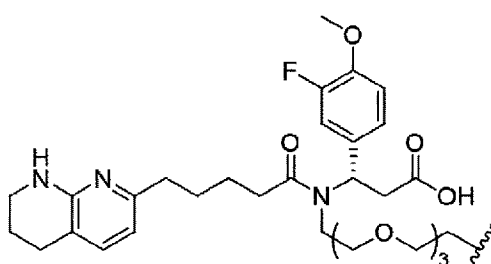
(Rakenne 30a);



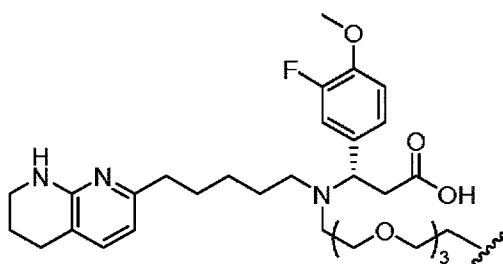
(Rakenne 31a);



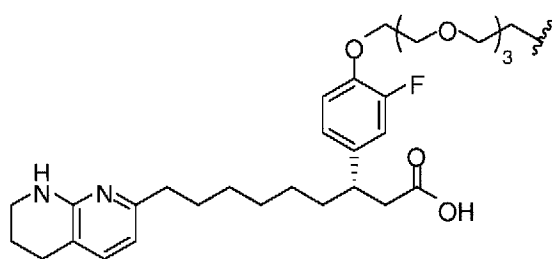
(Rakenne 32a);



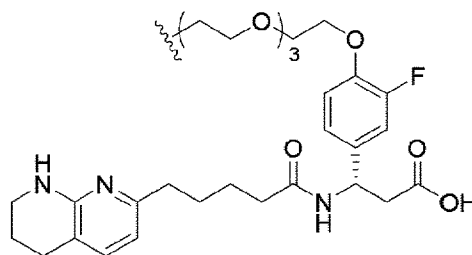
( Rakenne 33a);



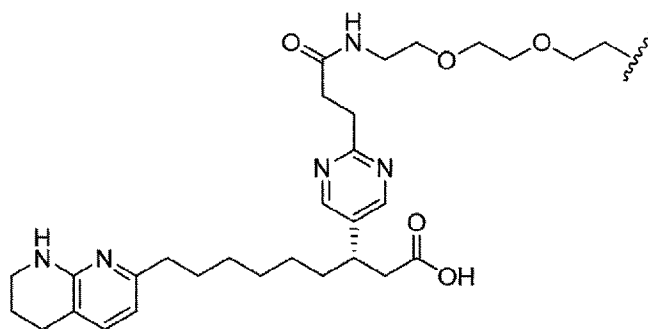
(Rakenne 34a);



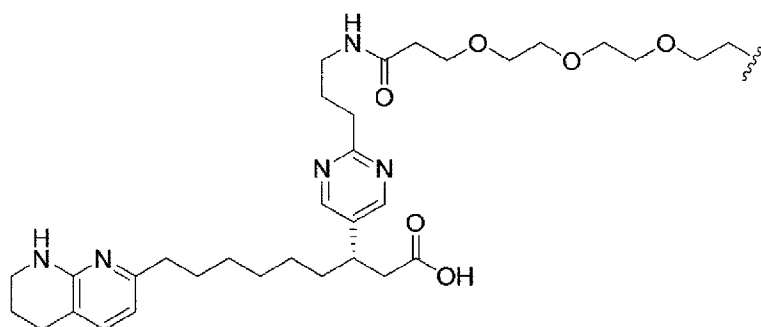
(Rakenne 36a);



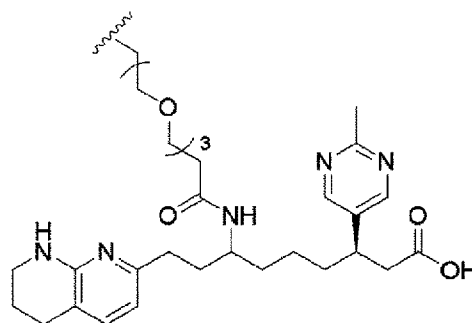
(Rakenne 37a);



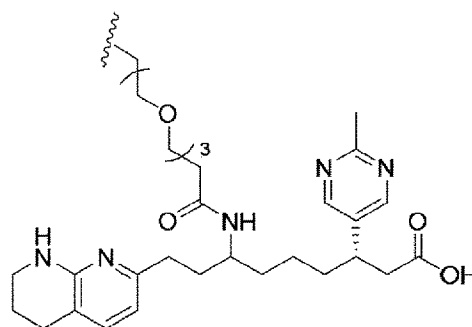
(Rakenne 38a);



(Rakenne 39a);



(Rakenne 40a) ja



(Rakenne 41a)

tai niiden farmaseuttisesti hyväksyttävästä suolasta, jolloin  osoittaa sitoutumiskohdan oligonukleotidipohjaiseen yhdisteeseen.

2. Patenttivaatimuksen 1 mukainen integriiniin kohdentuva ligandi, jolloin  
5 integriiniin kohdentuva ligandi on konjugoitunut RNAi-aineeseen.
3. Patenttivaatimuksen 1 tai 2 mukainen integriiniin kohdentuva ligandi, jolloin integriiniin kohdentuva ligandi käsittää lisäksi polyetyleeniglykolilinkkerin, jossa on 2–20 etyleenioksidiyksikköä.
4. Koostumus, joka käsittää jonkin patenttivaatimuksen 1–3 mukaista  
10 integriiniligandia ja farmaseuttisesti hyväksyttävää apuainetta.
5. Patenttivaatimuksen 4 mukainen koostumus, jossa integriiniin kohdentuva ligandi on konjugoitunut oligonukleotidipohjaiseen yhdisteeseen, joka on ainakin osittain komplementaarinen kohdegeenin kooditussekvenssille integriiniä ilmentävässä solussa.
- 15 6. Patenttivaatimuksen 4 tai 5 mukainen koostumus, jossa oligonukleotidipohjainen yhdiste on RNAi-aine.
7. Jonkin patenttivaatimuksen 4–6 mukainen koostumus, jossa integriini on  $\alpha\beta 3$ ,  $\alpha\beta 5$  tai sekä  $\alpha\beta 3$  että  $\alpha\beta 5$ .
8. Joko (i) jonkin patenttivaatimuksen 1–3 mukaista integriiniin kohdentuvaa  
20 ligandia käsittävän koostumuksen tai (ii) jonkin patenttivaatimuksen 4–7 mukaisen koostumuksen käyttö oligonukleotidipohjaisen yhdisteen viemiseksi soluun, joka ilmentää integriini  $\alpha\beta 3$ :a,  $\alpha\beta 5$ :tä tai sekä  $\alpha\beta 3$ :a että  $\alpha\beta 5$ :tä in vitro.

9. Patenttivaatimuksen 8 mukainen käyttö, jossa oligonukleotidipohjainen yhdiste on RNAi-aine.

10. Jonkin patenttivaatimuksen 1–3 mukaista integriiniin kohdentuvaa ligandia käsittävä koostumus tai jonkin patenttivaatimuksen 4–7 mukainen koostumus  
5 käytettäväksi lääkkeenä oligonukleotidipohjaisen yhdisteen viemiseksi hoidettavan soluun tai kudokseen *in vivo*.

11. Patenttivaatimuksen 10 mukaisesti käytettävä koostumus, jolloin solu on munuaissolu.

12. Patenttivaatimuksen 10 tai 11 mukaisesti lääkkeenä käytettävä  
10 koostumus, jolloin oligonukleotidipohjainen yhdiste on RNAi-aine.

13. Koostumus, joka sisältää RNAi-ainetta konjugoituneena jonkin patenttivaatimuksen 1–3 mukaiseen integriinin kohdentuvaan ligandiin, tai (ii) jonkin patenttivaatimuksen 4–7 mukainen koostumus käytettäväksi hoidossa, joka käsittää kohdegeenin ilmentymisen estämisen solussa, joka ilmentää integriini  
15  $\alpha\beta3:a$ ,  $\alpha\beta5:tä$  tai sekä  $\alpha\beta3:a$  että  $\alpha\beta5:tä$ .

14. Patenttivaatimuksen 13 mukaisesti käytettävä koostumus, jolloin kohdegeeni on EPAS1 (HIF2 alfa).

15. Patenttivaatimuksen 13 tai 14 mukaisesti käytettävä koostumus, jolloin solu on kirkassoluinen munuaiskarsinoomakasvainsolu.