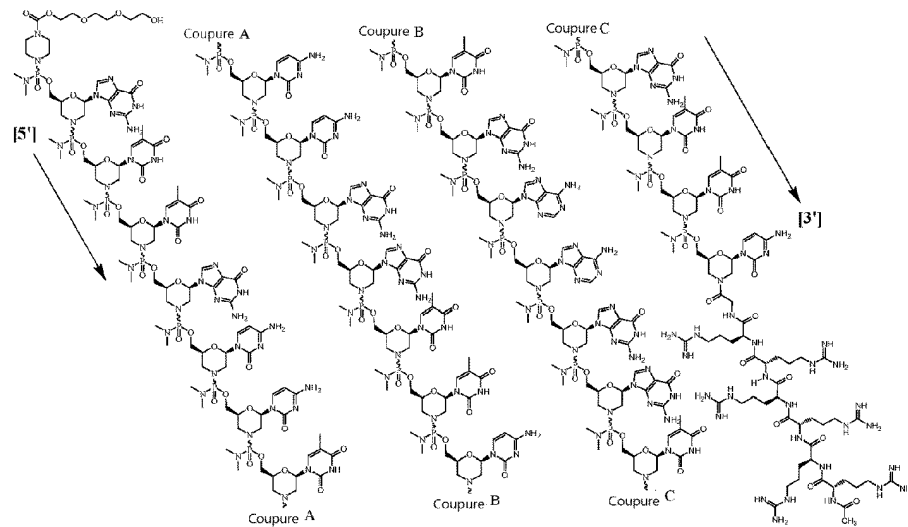


(12) BREVET D'INVENTION

- (11) N° de publication : **MA 51582 B1** (51) Cl. internationale : **A61K 47/64**
- (43) Date de publication : **31.10.2022**
-
- (21) N° Dépôt : **51582**
- (22) Date de Dépôt : **14.12.2017**
- (30) Données de Priorité : **19.12.2016 US 201662436223P**
- (86) Données relatives à la demande internationale selon le PCT: **PCT/US2017/066509 14.12.2017**
- (71) Demandeur(s) : **Sarepta Therapeutics, Inc., 215 First Street, Suite 415 Cambridge, MA 02142 (US)**
- (72) Inventeur(s) : **PASSINI, Marco, A. ; HANSON, Gunnar, J.**
- (74) Mandataire : **ATLAS INTELLECTUAL PROPERTY**
- (86) N° de dépôt auprès de l'organisme de validation: EP17826645.8**
-
- (54) Titre : **CONJUGUÉS OLIGOMÈRES DE SAUTS D'EXONS POUR LA DYSTROPHIE MUSCULAIRE**
- (57) Abrégé : Des conjugués oligomère antisens capables de se lier à un site cible sélectionné du gène de la dystrophine humaine pour induire le saut de l'exon 53 sont décrites.

Revendications

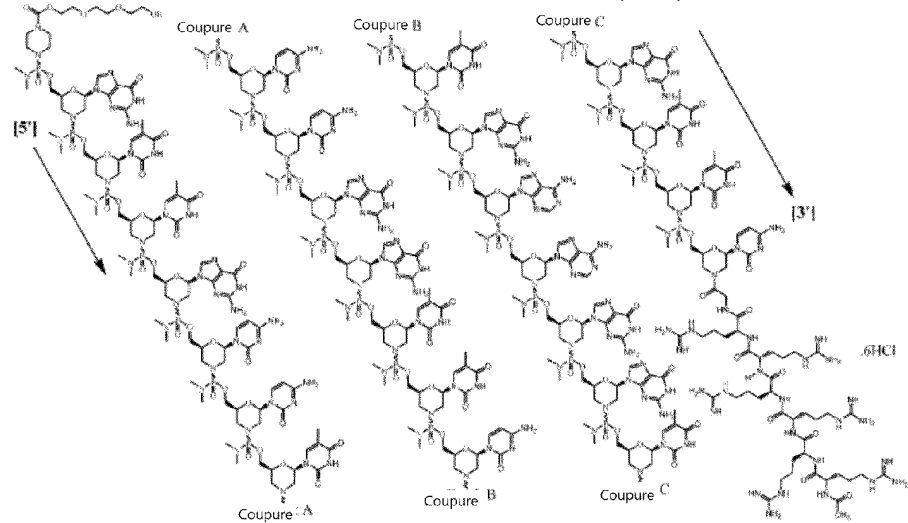
1. Conjugué oligomère antisens de formule (IV) :



(IV)

ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant.

2. Conjugué oligomère antisens selon la revendication 1, l'oligomère antisens étant de formule (IVA) :



(IVA) .

3. Composition pharmaceutique, comprenant un conjugué oligomère antisens selon la revendication 1 ou 2, ou un sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, et un support pharmaceutiquement acceptable.

4. Conjugué oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant selon la revendication 1 ou 2, pour une utilisation en thérapie.

5. Conjugué oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant selon la revendication 1 ou 2, ou composition pharmaceutique selon la

revendication 3, pour une utilisation dans le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) chez un sujet qui en a besoin, le sujet présentant une mutation du gène de dystrophine qui se prête à un saut d'exon 53.

6. Conjugué oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant selon la revendication 1 ou 2, ou composition pharmaceutique selon la revendication 3, pour une utilisation dans la restauration d'un cadre de lecture d'ARNm pour induire la production de dystrophine chez un sujet présentant une mutation du gène de dystrophine qui se prête à un saut d'exon 53.

7. Conjugué oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, ou composition pharmaceutique, pour une utilisation selon la revendication 5 ou 6, l'utilisation comprenant l'administration du conjugué oligomère antisens de manière hebdomadaire.

8. Conjugué oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, ou composition pharmaceutique, pour une utilisation selon la revendication 5 ou 6, l'utilisation comprenant l'administration du conjugué oligomère antisens de manière bihebdomadaire.

9. Conjugué oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, ou composition pharmaceutique, pour une utilisation selon la revendication 5 ou 6, l'utilisation comprenant l'administration du conjugué oligomère antisens toutes les trois semaines.

10. Conjugué oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, ou composition pharmaceutique, pour une utilisation selon la revendication 5 ou 6, l'utilisation comprenant l'administration du conjugué oligomère antisens de manière mensuelle.

11. Conjugué oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, ou composition pharmaceutique, pour une utilisation selon l'une quelconque des revendications 4 à 10, l'utilisation comprenant l'administration du conjugué oligomère antisens à raison d'une dose choisie parmi (i) environ 30 mg/kg ; (ii) environ 40 mg/kg ; (iii) environ 60 mg/kg ; (iv) environ 80 mg/kg ; et (v) environ 160 mg/kg.

12. Composition pharmaceutique selon la revendication 3 pour une utilisation dans l'exclusion de l'exon 53 d'un pré-ARNm de la dystrophine pendant le traitement d'ARNm chez un sujet présentant une mutation du gène de dystrophine qui se prête à un saut d'exon 53.

13. Composition pharmaceutique selon la revendication 3 pour une utilisation dans la liaison de l'exon 53 d'un pré-ARNm de la dystrophine chez un sujet présentant une mutation du gène de dystrophine qui se prête à un saut d'exon 53.