

(12) BREVET D'INVENTION

(11) N° de publication : **MA 65895 B1** (51) Cl. internationale : **A61P 21/00; A61K 47/64**

(43) Date de publication :
28.06.2024

(21) N° Dépôt :
65895

(22) Date de Dépôt :
14.12.2017

(30) Données de Priorité :
19.12.2016 US 201662436199P

(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

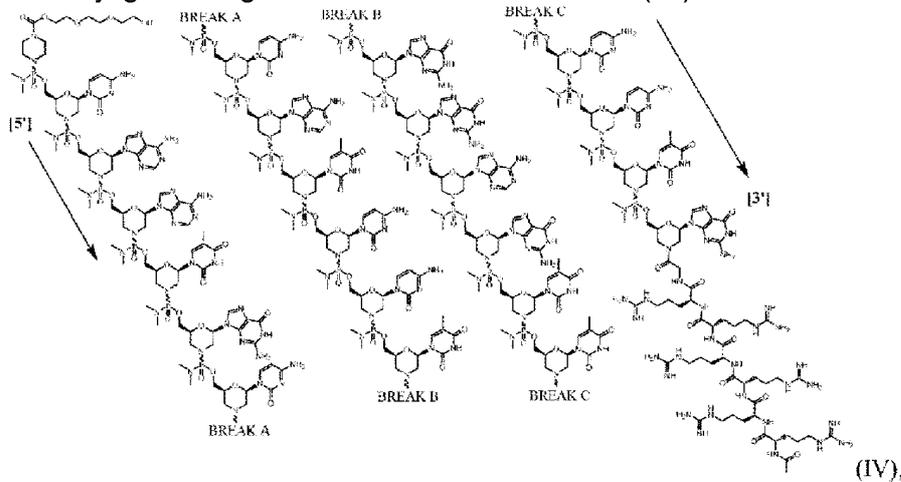
(86) N° de dépôt auprès de l'organisme de validation :22180767.0

(54) Titre : **CONJUGUÉS D'OLIGOMÈRES INDUISANT LE SAUT D'EXONS POUR LA DYSTROPHIE MUSCULAIRE**

(57) Abrégé : L'invention concerne des conjugués d'oligomères antisens complémentaires d'un site cible sélectionné dans le gène de la dystrophine humaine pour induire le saut de l'exon 45.

Revendications

1. Conjugué d'oligomère antisens de formule (IV) :



ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, pour une utilisation dans le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) chez un sujet primate qui en a besoin, dans lequel le sujet primate présente une mutation du gène de dystrophine qui peut être amené à sauter l'exon 45.

2. Conjugué d'oligomère antisens de formule (IV), tel que défini dans la revendication 1, ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, pour une utilisation dans un procédé de restauration d'un cadre de lecture d'ARNm afin d'induire la production de dystrophine chez un sujet primate ayant une mutation du gène dystrophine qui peut être amené à sauter l'exon 45.

3. Conjugué d'oligomère antisens ou sel pharmaceutiquement acceptable correspondant pour une utilisation selon la revendication 1 ou 2, dans lequel l'utilisation comprend l'administration au sujet primate d'une composition pharmaceutique comprenant le conjugué d'oligomère antisens de formule (IV) ou un sel pharmaceutiquement acceptable correspondant et un support pharmaceutiquement acceptable.

4. Composition pharmaceutique comprenant un conjugué d'oligomère antisens de formule (IV), tel que défini dans la revendication 1, ou un sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, et un support pharmaceutiquement acceptable, pour une utilisation dans l'exclusion de l'exon 45 du pré-ARNm de dystrophine pendant le traitement de l'ARNm chez un sujet primate présentant une mutation du gène dystrophine qui peut être amené à sauter l'exon 45.

5. Composition pharmaceutique comprenant un conjugué d'oligomère antisens de formule (IV), tel que défini dans la revendication 1, ou un sel pharmaceutiquement acceptable correspondant, et un support pharmaceutiquement acceptable, pour une utilisation dans la liaison de l'exon 45 de pré-ARNm de dystrophine chez un sujet primate présentant une mutation du gène de la dystrophine qui peut être amené à sauter l'exon 45.

6. Conjugué d'oligomère antisens, sel pharmaceutiquement acceptable correspondant ou composition pharmaceutique pour une utilisation selon l'une

quelconque des revendications 1 à 5, dans lequel le sujet est humain.

7. Conjugué d'oligomère antisens, sel pharmaceutiquement acceptable correspondant ou composition pharmaceutique pour une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 6, dans lequel le conjugué d'oligomère antisens est sous la forme d'un sel pharmaceutiquement acceptable.

8. Conjugué d'oligomère antisens, sel pharmaceutiquement acceptable correspondant ou composition pharmaceutique pour une utilisation selon la revendication 7, dans lequel le conjugué d'oligomère antisens est sous la forme d'un sel pharmaceutiquement acceptable correspondant de formule (IV A) :

