



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 2685986 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/439 (2006.01)
A61K 38/47 (2006.01)
A61K 45/06 (2006.01)
A61P 3/00 (2006.01)
A61P 35/00 (2006.01)
A61P 43/00 (2006.01)
C07D 453/02 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2020.04.20
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2019.11.27
(86)	European Application Nr.	12760259.7
(86)	European Filing Date	2012.03.16
(87)	The European Application's Publication Date	2014.01.22
(30)	Priority	2011.03.18, US, 201161454034 P 2012.01.25, US, 201261590711 P
(84)	Designated Contracting States:	AL ; AT ; BE ; BG ; CH ; CY ; CZ ; DE ; DK ; EE ; ES ; FI ; FR ; GB ; GR ; HR ; HU ; IE ; IS ; IT ; LI ; LT ; LU ; LV ; MC ; MK ; MT ; NL ; NO ; PL ; PT ; RO ; RS ; SE ; SI ; SK ; SM ; TR
	Designated Extension States:	BA ; ME
(73)	Proprietor	Genzyme Corporation, 50 Binney Street, Cambridge, MA 02142, USA
(72)	Inventor	BOURQUE, Elyse, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA CELATKA, Cassandra, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA HIRTH, Bradford, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA METZ, Markus, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA ZHAO, Zhong, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA SKERLJ, Renato, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA XIANG, Yibin, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA JANCISICS, Katherine, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA MARSHALL, John, 49 New York Avenue, Framingham, MA 01701, USA CHENG, Seng, 49 New York Avenue, Framingham, MA 01701, USA SCHEULE, Ronald, 49 New York Avenue, Framingham, MA 01701, USA CABRERA-SALAZAR, Mario, 49 New York Avenue, Framingham, MA 01701, USA GOOD, Andrew, 153 Second Avenue, Waltham, MA 02451, USA
(74)	Agent or Attorney	TANDBERG INNOVATION AS, Postboks 1570 Vika, 0118 OSLO, Norge

(54) Title **GLUCOSYLCERAMIDE SYNTHASE INHIBITOR**

(56) References

Cited:

US-A1- 2004 002 513

WO-A1-2010/091104

US-A1- 2006 058 349

WO-A2-2010/014455

WO-A1-2004/007453

US-A1- 2009 163 500

WO-A1-2010/091164

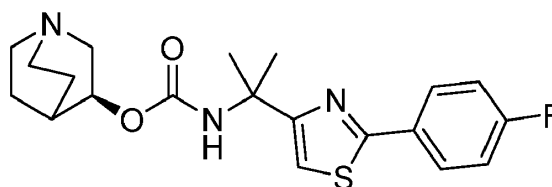
MARKS ET AL.: 'Identification of Active Site Residues in Glucosylceramide Synthase' JOURNAL OF BIOLOGICAL CHEMISTRY vol. 276, no. 28, 2001, pages 26492 - 26498, XP055137773

Enclosed is a translation of the patent claims in Norwegian. Please note that as per the Norwegian Patents Acts, section 66i the patent will receive protection in Norway only as far as there is agreement between the translation and the language of the application/patent granted at the EPO. In matters concerning the validity of the patent, language of the application/patent granted at the EPO will be used as the basis for the decision. The patent documents published by the EPO are available through Espacenet (<http://worldwide.espacenet.com>) or via the search engine on our website here: <https://search.patentstyret.no/>

Patentkrav

1. En forbindelse representert ved de følgende strukturformel,

5



eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav.

10 2. Forbindelse ifølge krav 1, for anvendelse i behandling av en lysosomal lagringssykdom.

3. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 2, hvor den lysosomale lagringssykdommen resulterer av en defekt i glycosphingolipid-veien.

15 4. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 3, hvor den lysosomale lagringssykdommen er valgt fra gruppen bestående av Gaucher, Fabry, G_{M1} -gangliosidose, G_{M2} Aktivatormangel, Tay-Sachs og Sandhoff.

20 5. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 4, hvor den lysosomale lagringssykdommen er Fabry.

6. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 4, hvor den lysosomale lagringssykdommen er Gaucher type 2 eller type 3.

25 7. Forbindelse for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 6, hvor nevnte anvendelse videre omfatter trinnet av å administrere til subjektet en terapeutisk effektiv mengde av et lysosomalt enzym.

30 8. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 7, hvor det lysosomale enzymet er valgt fra gruppen bestående av glucocerebrosidase, alfa-galactosidase A, Hexosaminidase A, Hexosaminidase B og G_{M1} -ganglioside- β -galactosidase.

9. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 8, hvor det lysosomale enzymet er alfa-galactosidase A.

35

10. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 8, hvor det lysosomale enzymet er glucocerebrosidase.

5 11. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 7, hvor før behandling subjektet har forhøyet nivåer av et lysosomalt substrat.

10 12. Forbindelse ifølge krav 1 for anvendelse i behandling av en sykdom eller lidelse forårsaket av glucosylceramide-synthase (GCS) eller en sykdom eller lidelse der GCS er involvert, hvor nevnte sykdom eller lidelse er kreft eller en metabolsk forstyrrelse.

13. Fremgangsmåte for å indusere redusert glucosylceramide-synthase-katalytisk aktivitet i en celle, in-vitro, omfattende å bringe cellen i kontakt med en effektiv mengde av en forbindelse ifølge krav 1.

15 14. Farmasøytisk sammensetning omfattende en forbindelse ifølge krav 1 og i det minste en farmasøytisk akseptabel bærer.

15. Forbindelse ifølge krav 1, for anvendelse i terapi.