



(12) Translation of  
European patent specification

(11) NO/EP 2841438 B1

NORWAY

(19) NO  
(51) Int Cl.  
*C07F 9/24 (2006.01)*  
*A61K 31/661 (2006.01)*  
*A61P 25/28 (2006.01)*

**Norwegian Industrial Property Office**

---

(21)	Translation Published	2016.11.21
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2016.08.10
(86)	European Application Nr.	13722201.4
(86)	European Filing Date	2013.04.26
(87)	The European Application's Publication Date	2015.03.04
(30)	Priority	2012.04.27, US, 201261639602 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
(73)	Proprietor	Retrophin, Inc., 777 Third Avenue 22nd Floor, New York, NY 10017, US-USA
(72)	Inventor	VAINO, Andrew, Retrophin Inc.777 Third Avenue22nd Floor, New York, NY 10017, US-USA BIESTEK, Marek, Retrophin Inc.777 Third Avenue22nd Floor, New York, NY 10017, US-USA SHKRELI, Martin, Retrophin Inc.777 Third Avenue22nd Floor, New York, NY 10017, US-USA
(74)	Agent or Attorney	Bryn Aarflot AS, Postboks 449 Sentrum, 0104 OSLO, Norge

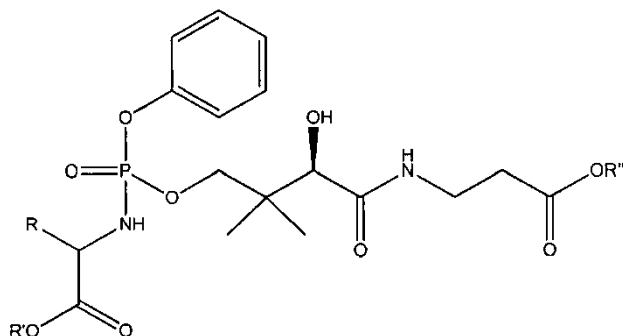
---

(54)	Title	<b>PANTOTHENATE DERIVATIVES FOR THE TREATMENT OF NEUROLOGIC DISORDERS</b>
(56)	References Cited:	HAYFLICK SUSAN J: "Unraveling the Hallervorden-Spatz syndrome: pantothenate kinase-associated neurodegeneration is the name.", CURRENT OPINION IN PEDIATRICS, vol. 15, no. 6, December 2003 (2003-12), pages 572-577, XP008163270, ISSN: 1040-8703 SCOTT J HECKER AND MARK D ERION: "Prodrugs of Phosphates and Phosphonates", JOURNAL OF MEDICINAL CHEMISTRY, AMERICAN CHEMICAL SOCIETY, US, vol. 51, no. 8, 24 April 2008 (2008-04-24) , pages 2328-2345, XP008148502, ISSN: 0022-2623, DOI: 10.1021/JM701260B [retrieved on 2008-02-01] HWANG ET AL: "Enzymatic and cellular study of a serotonin N-acetyltransferase phosphopantetheine-based prodrug", BIOORGANIC & MEDICINAL CHEMISTRY, PERGAMON, GB, vol. 15, no. 5, 31 January 2007 (2007-01-31), pages 2147-2155, XP005867179, ISSN: 0968-0896, DOI: 10.1016/J.BMC.2006.12.016 C. J. BALIBAR ET AL: "Pantethine Rescues Phosphopantothenoylecysteine Synthetase and Phosphopantothenoylecysteine Decarboxylase Deficiency in Escherichia coli but Not in Pseudomonas aeruginosa", JOURNAL OF BACTERIOLOGY, vol. 193, no. 13, 1 July 2011 (2011-07-01) , pages 3304-3312, XP055067881, ISSN: 0021-9193, DOI: 10.1128/JB.00334-11 cited in the application

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 som har formelen:



5 eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, valgt fra gruppen bestående av:

R (Aminosyre)	R'	R''
Me (L-ala)	Me	Me
Me (L-ala)	Et	Bn
Me (L-ala)	MeCyPr	MeCyPr
MeIndole (L-Trp)	Bn	Et

2. Forbindelse ifølge krav 1, hvor R, R' og R'' er metyl.

10 3. Forbindelse ifølge krav 1, hvor R er metyl, R' er etyl og R'' er benzyl.

4. Forbindelse ifølge krav 1, hvor R er metyl og R' og R'' er metylcyklopropyl.

15 5. Forbindelse ifølge krav 1, hvor R er 1H-indol-3yl-metyl, R' er benzyl og R'' er etyl.

6. Et farmasøytisk preparat omfattende en forbindelse ifølge et hvilket som helst et av kravene 1-5 og et farmasøytisk akseptabelt tilsetningsmiddel.

20 7. Det farmasøytiske preparatet ifølge krav 6, hvor det farmasøytiske preparatet er en doseenhetsform.

8. En forbindelse ifølge et hvilken som helst et av kravene 1-5 for anvendelse som et medikament for behandling av pantotenat kinase-assosiert nevrodegenerasjon i et individ.

25

9. Forbindelsen for anvendelse ifølge krav 8, hvor individet lider av neurodegenerasjon med hjernejern akkumulering.

5 10. En forbindelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-5 for anvendelse som et medikament for behandling av et individ som har neuronale celler med en overakkumulering av jern.

10 11. Forbindelse for anvendelse ifølge hvilket som helst av kravene 8-10, hvor individet er et barn.

12. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 11, hvor barnet er 10 til 15 år gammelt.

15 13. Forbindelse for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 8-10, hvor individet er en voksen.

20 14. Forbindelse ifølge et hvilket som helst et av kravene 1-5 for anvendelse som et medikament for behandling av celler eller vev involvert i en patologi karakterisert ved unormal neuronal funksjon i et individ.