



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 2844279 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 38/47 (2006.01)
A61K 31/445 (2006.01)
A61P 3/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.05.18
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2020.12.09
(86)	European Application Nr.	13785028.5
(86)	European Filing Date	2013.05.02
(87)	The European Application's Publication Date	2015.03.11
(30)	Priority	2012.05.03, US, 201261642311 P 2012.06.25, US, 201261664011 P 2012.09.05, US, 201261697179 P 2013.01.04, US, 201361749132 P 2013.01.04, US, 201361749234 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	Amicus Therapeutics, Inc., 3675 Market Street, Philadelphia, PA 19104, USA
(72)	Inventor	GREENE, Douglas, Stuart, 15 Liberty Street, Newtown, PA 18940, USA VALENZANO, Kenneth, Joseph, 337 New Brunswick Avenue, East Brunswick, NJ 08816, USA
(74)	Agent or Attorney	TANDBERG INNOVATION AS, Postboks 1570 Vika, 0118 OSLO, Norge

(54) Title **DOSING REGIMENS FOR THE TREATMENT OF POMPE DISEASE**

(56) References
Cited: US-A1- 2010 266 571
 US-A1- 2006 264 467
 US-A1- 2010 119 502
 U.S. DEPARTMENT OF HEALTH AND HUMAN SERVICES, FOOD AND DRUG
 ADMINISTRATION, AND CENTER FOR DRUG EVALUATION AND RESEARCH: "Guidance for
 Industry: Estimating the Maximum Safe Starting Dose in Initial Clinical Trials for Therapeutics in
 Adult Healthy Volunteers ("Industry Guidance")", GUIDANCE FOR INDUSTRY, 2005,
 PRIYA KISHNANI,1 MARK TARNOPOLSKY, ' MARK ROBERTS,1 KUMARSWAMY
 SIVAKUMAR,4 MAJED DASOUKI,5: "Duvoglustat HCl Increases Systemic and Tissue Exposure
 of Active Acid α -Glucosidase in PompePatients Co-administered with Alglucosidase α ",
 MOLECULAR THERAPY, 2017,
 BECK ET AL.: 'Alglucosidase alfa: Long term use in the treatment of patients with Pompe

disease' THERAPEUTICS AND CLINICAL RISK MANAGEMENT vol. 5, 18 September 2009, pages 767 - 772, XP055175847

VALENZANO ET AL.: 'Identification and Characterization of Pharmacological Chaperones to Correct Enzyme Deficiencies in Lysosomal Storage Disorders' ASSAY AND DRUG DEVELOPMENT TECHNOLOGIES vol. 9, no. 3, June 2011, pages 213 - 235, XP055175843

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. 1-Deoksynojirimycin (1-DNJ), n-butyl deoksynojirimycin (NB-DNJ), eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav og en effektiv mengde av human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i en fremgangsmåte for behandlingen av Pompes sykdom i et humant individ; hvor :

1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav blir administrert i en mengde på 250 mg eller 600 mg og blir administrert fra 4 timer før, til umiddelbart før administreringen av human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapien.

2. Et sett for behandlingen av Pompes sykdom i et humant individ, hvor settet omfatter 250 mg eller 600 mg av 1-deoksynojirimycin (1-DNJ), n-butyl deoksynojirimycin (NB-DNJ), eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og en effektiv mengde av human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi, hvor 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav blir administrert fra 4 timer før, til umiddelbart før administreringen av human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapien.

3. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til krav 1, hvor 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav blir administrert rundt 1 time før administreringen av human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapien.

4. Sett for anvendelse i henhold til krav 2, hvor 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav blir administrert rundt 1 time før administreringen av human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapien.

5. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til krav 1, hvor pasienten faster i en tidsperiode som begynner 0,5 til 4 timer før og som slutter 0,5 til 4 timer etter administrering av 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav.

6. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til krav 5, hvor pasienten faster i minst 2 timer før og minst 2 timer etter administrering av 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav.

7. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til krav 1, hvor 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav blir administrert rundt 2 timer før administreringen av human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapien.

8. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til krav 6, hvor 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav blir administrert rundt 1 time før administreringen av den human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapien.

9. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til krav 1, hvor den human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapien er alglukosidase alfa.

10. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til krav 1, hvor pasienten blir administrert en andre dose av 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav mellom administreringen av den human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapien og rundt 4 timer deretter.

11. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til et hvilket som helst av kravene 3, 7, eller 8, hvor 1-DNJ-et, NB-DNJ-et eller det farmasøytisk akseptable saltet derav og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi blir administrert hver 1 til 4 uker.

12. 1-DNJ, NB-DNJ, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi for anvendelse i henhold til krav 11, hvor 1-DNJ-et, NB-DNJ-et, eller det farmasøytisk akseptable saltet derav og human rekombinant syre- α -glukosidase-enzym erstatningsterapi blir administrert hver annen uke.