



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3112372 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 2019.01.28

(80) Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent 2018.11.07

(86) European Application Nr. 16001739.8

(86) European Filing Date 2013.04.26

(87) The European Application's Publication Date 2017.01.04

(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

(62) Divided application EP2841438, med inndato 2013.04.26

(73) Proprietor Retrophin, Inc., 3721 Valley Centre Drive, Suite 200, San Diego, CA 92130, USA

(72) Inventor Vaino, Andrew, c/o Retrophin, Inc.3721 Valley Centre Drive, Suite 200, San Diego, CA 92130, USA
Biestek, Marek, c/o Retrophin, Inc.3721 Valley Centre Drive, Suite 200, San Diego, CA 92130, USA
Shkreli, Martin, c/o Retrophin, Inc.3721 Valley Centre Drive, Suite 200, San Diego, CA 92130, USA

(74) Agent or Attorney BRYN AARFLOT AS, Stortingsgata 8, 0161 OSLO, Norge

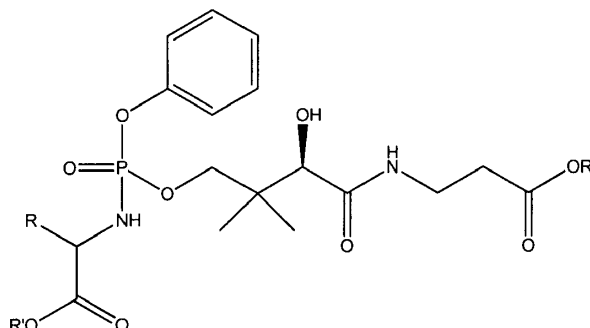
(54) Title **PANTOTHENATE DERIVATIVES FOR THE TREATMENT OF NEUROLOGIC DISORDERS**

(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

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/>

P A T E N T K R A V

1. Forbindelse som har formelen:



5

eller et farmasøytisk akseptert salt derav, hvori R, R' og R'' er metyl.

2. Farmasøytisk preparat omfattende en forbindelse ifølge krav 1, og en
10 farmasøytisk akseptert eksipiens.
3. Farmasøytisk preparat ifølge krav 2, hvori det farmasøytiske preparatet er en doseringsenhetsform.
- 15 4. Forbindelse ifølge krav 1 for anvendelse som et medikament for behandling av pantotenatkinase-assosiert neurodegenerering i et individ.
5. Forbindelse for anvendelse ifølge krav 4, hvori individet lider av neurodegenerering med akkumulering av jern i hjernen.
20
6. Forbindelse ifølge krav 1 for anvendelse som et medikament for behandling av et individ som har nerveceller med en overakkumulering av jern.
7. Forbindelse ifølge krav 1 for anvendelse som et medikament for behandling av
25 celler eller vev involvert i en patologi som er karakterisert ved unormal nevronal funksjon hos et individ.
8. Forbindelse ifølge krav 7, hvori patologien er valgt fra dystoni, ekstrapyramidale effekter, dysfagi, rigiditet og/eller stivhet i lemmer, koreoatetose, tremor, demens, spastisitet, muskelsvakhet og slag.
30

9. Forbindelse ifølge krav 1 for anvendelse som et medikament for behandling av celler eller vev involvert i en patologi som er karakterisert ved dysfunksjonelle nerveceller forårsaket av feilregulering av genet assosiert med enzymet pantotenatkinase.

5

10. Forbindelse ifølge krav 1 for anvendelse som et medikament for behandling av celler eller vev involvert i en patologi som er karakterisert ved dysfunksjonelle nerveceller forårsaket av feilregulering av ekspresjonen av genet assosiert med enzymet pantotenatkinase.

10

11. Forbindelse for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 4-10, hvori individet er et barn.

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

15

13. Forbindelse for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 4-10, hvori individet er en voksen person.

20