



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3240538 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/496 (2006.01)
A61P 25/28 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2022.02.14
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2021.09.29
(86)	European Application Nr.	17712175.3
(86)	European Filing Date	2017.03.24
(87)	The European Application's Publication Date	2017.11.08
(30)	Priority	2016.03.25, EP, 16162490
(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	AB Science, 3, avenue George V, 75008 Paris, Frankrike
(72)	Inventor	MOUSSY, Alain, 22 bis passage Dauphine, 75006 Paris, Frankrike KINET, Jean-Pierre, 62 Gleason Road, Lexington, Massachusetts 02420, Frankrike MANSFIELD, Colin, 1 avenue Paul Santy Bâtiment C, 69130 Écully, Frankrike
(74)	Agent or Attorney	BRYN AARFLOT AS, Stortingsgata 8, 0161 OSLO, Norge

(54)	Title	USE OF MASITINIB FOR TREATMENT OF AN AMYOTROPHIC LATERAL SCLEROSIS PATIENT SUBPOPULATION
------	-------	---

(56)	References Cited:	WO-A1-2015/063318 WO-A2-2014/145909 RYU KATSUMATA ET AL: "c-Abl Inhibition Delays Motor Neuron Degeneration in the G93A Mouse, an Animal Model of Amyotrophic Lateral Sclerosis", PLOS ONE, vol. 7, no. 9, 25 September 2012 (2012-09-25), page e46185, XP55370442, DOI: 10.1371/journal.pone.0046185
------	----------------------	---

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. Inhibitor av minst én tyrosinkinase valgt fra c-Kit, Lyn, Fyn, PDGFR og CSF1R, eller en hvilken som helst kombinasjon derav, for anvendelse i behandlingen av pasienter som lider av amyotrofisk lateral sklerose (ALS) som har en progresjon av ALSFRS-R-score før behandlingsstart på mindre enn 1,1 poeng per måned.

2. Inhibitoren for anvendelse ifølge krav 1, hvori pasientene har en progresjon av ALSFRS-R-score før behandlingsstart på mindre enn 0,8 poeng per måned.

3. Inhibitoren for anvendelse ifølge krav 1, hvori pasientene har en progresjon av ALSFRS-R-score før behandlingsstart på mindre enn 1,1 poeng per måned og lik eller større enn 0,8 poeng per måned ($\geq 0,8$ til $< 1,1$ poeng per måned).

4. Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 3, hvori inhibitoren er en inhibitor av mastcelleaktivitet.

5. Inhibitoren for anvendelse ifølge krav 4, hvori mastcelleinhibitoren er valgt fra gruppen som består av: masitinib, imatinib, kromolynnatrium, midostaurin, BLU-285, bosutinib, ibrutinib, LAS189386, DP-2618, fostamatinib, nilotinib, dasatinib, sunitinib, axitinib, pazopanib og toceranib.

6. Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 4, hvori inhibitoren er en inhibitor av mikrogliaelleaktivitet.

7. Inhibitoren for anvendelse ifølge krav 6, hvori mikrogliaelleinhibitoren er valgt fra gruppen som består av: masitinib, GW2580, pexidartinib, BLZ945, linifanib, OSI-930, imatinib, sunitinib, nilotinib, pazopanib, emactuzumab, FPA008, quizartinib, axitinib, motesanib, cediranib, JNJ-28312141, Ki-20227, MLN-518, sorafenib og SU-14813.

8. Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 7, hvori inhibitoren er et 2-aminoaryltiazolderivat.

9. Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene **1** til **8**, hvori inhibitoren er masitinib eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller solvat derav, fortrinnsvis masitinibmesilat.

5 **10.** Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene **1** til **9**, hvori inhibitoren, fortrinnsvis masitinib eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller solvat derav, og mer foretrukket masitinibmesilat, administreres i en dose som varierer fra ca. 1,0 til ca. 9,0 mg/kg/dag (mg per kilo kroppsvekt per dag); fortrinnsvis ved en startdose på 3,0 mg/kg/dag i løpet av minst 4 uker, deretter 4,5 mg/kg/dag i løpet av minst 4 uker, og ved 6,0 mg/kg/dag
10 deretter, der hver doseeskalering utsettes for toksisitetsskontroller.

11. Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene **1** til **10**, hvori inhibitoren, fortrinnsvis masitinib eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller solvat derav, og mer foretrukket masitinibmesilat, administreres i en dose på 4,5 mg/kg/dag.

15 **12.** Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene **1** til **10**, hvori inhibitoren, fortrinnsvis masitinib eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller solvat derav, og mer foretrukket masitinibmesilat, administreres i en dose på 6 mg/kg/dag.

20 **13.** Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene **1** til **12**, hvori inhibitoren, fortrinnsvis masitinibmesilat, administreres i to daglige inntak.

14. Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene **1** til **13**, hvori inhibitoren, fortrinnsvis masitinibmesilat, administreres oralt.

25 **15.** Inhibitoren for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene **1** til **14**, hvori inhibitoren administreres i kombinasjon med minst én annen farmasøytisk aktiv ingrediens.

30 **16.** Inhibitoren for anvendelse ifølge krav **15**, hvori den andre farmasøytisk aktive ingrediensen er en antiglutamatforbindelse, særlig riluzol, topiramat, gabapentin, lamotrigin, talampanel, ceftriaxon, en inhibitor av glutamatkarboksypeptidase II, fortrinnsvis er den andre farmasøytisk aktive ingrediensen riluzol.

17. Farmasøytisk sammensetning eller et medikament eller et sett omfattende en inhibitor av minst én tyrosinkinase valgt fra c-Kit, Lyn, Fyn, PDGFR og CSF1R, eller en hvilken som helst kombinasjon derav, fortrinnsvis masitinib eller et farmasøytisk salt eller solvat derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene **1** til **16**.