



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3359146 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/13 (2006.01)
A61P 25/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(21)	Translation Published	2019.05.13
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2019.01.23
(86)	European Application Nr.	17767933.9
(86)	European Filing Date	2017.08.11
(87)	The European Application's Publication Date	2018.08.15
(30)	Priority	2016.08.11, GB, 201613828 2017.02.16, GB, 201702552 2017.04.10, GB, 201705762 2017.04.28, GB, 201706854
(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
	Designated Validation States:	MA; MD
(73)	Proprietor	Intrabio Ltd, Begbroke Science Park Begbroke Hill Woodstock Road, Begbroke, Oxfordshire OX5 1PF, Storbritannia
(72)	Inventor	STRUPP, Michael, c/o The Department of Neurology and German Centerfor Vertigo and Balance DisordersLudwig-Maximilians-University Hospital MunichCampus Grosshadern Marchioninstr. 15, 81377 Munich, Tyskland
(74)	Agent or Attorney	BRYN AARFLOT AS, Stortingsgata 8, 0161 OSLO, Norge

(54)	Title	PHARMACEUTICAL COMPOSITIONS AND USES DIRECTED TO LYSOSOMAL STORAGE DISORDERS
(56)	References Cited:	WO-A1-2011/151685, JAN LUKAS ET AL: "Enzyme Enhancers for the Treatment of Fabry and Pompe Disease", MOLECULAR THERAPY, vol. 23, no. 3, 1 March 2015 (2015-03-01), pages 456-464, XP55418262, US ISSN: 1525-0016, DOI: 10.1038/mt.2014.224, WO-A1-2006/097527, FR-A1- 2 905 600

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. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ved behandling av en lysosomal lagringsforstyrrelse (LSD) eller ett eller flere symptomer assosiert med en LSD i et individ med behov derav, hvor LSD ikke er Niemann-Pick Type C.
2. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge krav 1, hvor LSD er valgt fra glykogenlagringssykdom, mukopolysakkaridoser, mukolipidoser, oligosakkaridoser, lipidoser, sfingolipidoser, og lysosomale transportsykdommer.
3. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge krav 1, hvor LSD er valgt fra en primær lysosomal hydrolasedefekt, en post-translasjonsprosesseringsdefekt av lysosomale enzymer, en transportdefekt for lysosomale enzymer, en defekt i lysosomal enzymbeskyttelse, en defekt i øselige ikke-enzymatiske lysosomale proteiner, en transmembran (ikke-enzym)-proteinfeil, og en uklassifisert defekt.
4. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge krav 1, hvor LSD er valgt fra Tay-Sachs sykdom, AB-varianten av Tay-Sachs sykdom, Sandhoffs sykdom, Niemann-Picks sykdom type A, Niemann-Picks sykdom type B, Fabrys sykdom, nevronal ceroid lipofuscinose, Krabbes sykdom, Farbers sykdom, Gauchers sykdom, metakromatisk leukodystrofi, multippel sulfatasemangel, mukolipidose II, mukolipidose III, MPS III, MPS VII, GM1 gangliosidose, og aspartylglukosaminuri.
5. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge krav 1 for å forsinke starten av en LSD eller ett eller flere symptomer på en LSD som ellers ville forventes å manifestere ifølge typisk sykdomsprogresjon.
6. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge krav 1 for å reversere progresjon av en LSD eller ett eller flere symptomer assosiert med en LSD over tid, hvor anvendelsen omfatter administrering av en terapeutisk effektiv mengde acetylleucin til individet med behov derav i en tidsperiode valgt fra minst ca. 3 måneder, minst ca. 6 måneder, minst ca. 1 år, minst ca. 2 år, og minst ca. 5 år.

7. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge krav 1, for å forbedre i et individ med behov derav en biokjemisk markør av en LSD over tid, hvor anvendelsen omfatter administrering av en terapeutisk effektiv mengde acetylleucin til individet med behov derav over en tidsperiode valgt fra minst ca. 3 måneder, minst ca. 6 måneder, minst ca. 1 år, minst ca. 2 år, og minst ca. 5 år.
8. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge krav 7, hvor den biokjemiske markøren er økt lysosomalt volum.
9. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-8, hvor anvendelsen omfatter å starte administrasjon av en terapeutisk effektiv mengde acetylleucin til individet med behov derav når individet er asymptomatisk.
10. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse i en fremgangsmåte ifølge krav 9, hvor den første administrasjon skjer etter at individet har blitt funnet å ha en genetisk og/eller biokjemisk markør av LSD-en.
11. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-5, hvor fremgangsmåten omfatter administrering av en terapeutisk effektiv mengde acetylleucin til individet med behov derav over en tidsperiode valgt fra minst ca. 3 måneder, minst ca. 6 måneder, minst ca. 1 år, minst ca. 2 år, og minst ca. 5 år.
12. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-11, hvor acetylleucin er acetyl-DL-leucin.
13. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-11, hvor acetylleucinet har et enantiomeroverskudd av L-enantiomeren eller D-enantiomeren.
14. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-11, hvor acetylleucin er i en enkelt enantiomerisk form av enten L-enantiomeren eller D-enantiomeren.

15. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, til anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-11, hvor fremgangsmåten omfatter administrering av acetylleucin til individet med behov derav en terapeutisk effektiv mengde på fra ca. 1 til ca. 15 g per dag, fra ca. 1 g til ca. 10 g per dag, fra ca. 1,5 g til ca. 7 g per dag, fra 5 ca. 4 g til ca. 6 g per dag, eller fra ca. 4 g til ca. 5 g per dag.

16. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 1 for å redusere alvorlighetsgraden av en LSD eller redusere alvorlighetsgraden av eller eliminere ett eller flere eksisterende symptomer assosiert med en LSD i et 10 individ med behov derav.