



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3397273 B1

NORWAY

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

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.10.18
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2021.05.19
(86)	European Application Nr.	16826898.5
(86)	European Filing Date	2016.12.29
(87)	The European Application's Publication Date	2018.11.07
(30)	Priority	2015.12.30, US, 201562272890 P 2016.02.26, US, 201662300479 P 2016.03.30, US, 201662315412 P 2016.09.30, US, 201662402454 P 2016.12.01, US, 201662428867 P 2016.12.08, US, 201662431791 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
	Designated Extension States:	BA ; ME
(73)	Proprietor	Amicus Therapeutics, Inc., 3675 Market Street, Philadelphia, PA 19104, USA
(72)	Inventor	DO, Hung V., 1 Cedarbrook Drive, Cranbury, New Jersey 08512, USA KHANNA, Richie, 1 Cedar Brook Drive, Cranbury, New Jersey 08512, USA GOTSCHALL, Russell, 1 Cedar Brook Drive, Cranbury, New Jersey 08512, USA
(74)	Agent or Attorney	ZACCO NORWAY AS, Postboks 488, 0213 OSLO, Norge

(54)	Title	AUGMENTED ACID ALPHA-GLUCOSIDASE FOR THE TREATMENT OF POMPE DISEASE
(56)	References Cited:	WO-A1-2016/054231 R Gottschall ET AL: "Novel rhGAA with Optimal Glycosylation Is Significantly Better than Alglucosidase Alfa for Glycogen Clearance in Skeletal Muscles of Gaa KO Mice", 11th World Symp Lysosomal Dis Netw (February 9-13, Orlando) 2015, Abst 94, 12 February 2015 (2015-02-12), XP055348233, Retrieved from the Internet: URL: http://files.shareholder.com/downloads/AMTX/3343666038x0x808165/4D574EF7-3FF6-4E EF-A511-CA68AE0F173F/Gotschall_et_al_Novel_rhGAA_with_Optimal_Glycosylation.pdf [retrieved on 2017-02-21]

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/>

EP3397273

1

Patentkrav

1. En sammensetning som omfatter rekombinante humane syre α -glukosidase (rhGAA) -
5 molekyler for bruk ved behandling av Pompe-sykdom i kombinasjon med miglustat i en
pasient som har behov for det;
hvor sammensetningen er administrert intravenøst i en dose på 5 mg/kg til 20
mg/kg og nevnte miglustat er administrert oralt i en dose på 260 mg eller 130
mg;
10 hvor rhGAA-molekylene blir produsert i kinesiske-hamster-ovarieceller (CHO), hvor
rhGAA-molekylene omfatter syv potensielle N-glykosyleringssteder, hvor 40%-
60% av N-glykanene på rhGAA-molekylene er komplekse N-glykaner, og hvor i det
minste 50% av rhGAA-molekylene bærer en bis-mannose-6-fosfat (bis-M6P) -
enhet ved det første potensielle N-glykosyleringsstedet.
15
2. Sammensetningen for bruk ifølge krav 1, hvor rhGAA-molekylene er uttrykt med
(i) en sekvens som er i det minste 95% identisk med SEQ ID NO: 4; eller
(ii) sekvensen av SEQ ID NO: 4, hvor rhGAA-molekylene gjennomgår en post-
translasjonsmodifisering for å fjerne de første 56 aminosyrene.
20
3. Sammensetningen for bruk ifølge krav 1 eller krav 2, hvor i det minste 55% av rhGAA-
molekylene bærer en bis-M6P-enhet ved det første potensielle N-glykosyleringsstedet.
4. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-3, hvor i det
25 minste 70% av rhGAA-molekylene er fosforylert ved det første potensielle N-
glykosyleringsstedet.
5. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-4, hvor i det
minste 40% av rhGAA-molekylene bærer en mono-mannose-6-fosfat (mono-M6P) -enhet
30 ved det andre potensielle N-glykosyleringsstedet.
6. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-5, hvor i det
minste 40% av rhGAA-molekylene bærer en bis-M6P-enhet ved det fjerde potensielle N-
glykosyleringsstedet.
35
7. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-6, hvor i det
minste 25% av rhGAA-molekylene bærer en mono-M6P-enhet ved det fjerde potensielle
N-glykosyleringsstedet.

EP3397273

2

8. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-7, hvor sammensetningen er administrert i en dose på 20 mg/kg ved intravenøs infusjon over omtrent fire timer hver 2. uke, hvor nevnte miglustat er administrert en time før den intravenøse infusjonen av sammensetningen, og hvor pasienten faster i det minste to timer før og i det minste to timer etter den orale administreringen av miglustat.

9. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-8, hvor sammensetningen er administrert intravenøst i en dose på 20 mg/kg og nevnte miglustat er administrert oralt i en dose på 260 mg.

10. Et sett for kombinasjonsbehandling av Pompe-sykdom i en pasient som har behov for det, hvor settet inkluderer en farmasøytisk akseptabel doseringsform som omfatter miglustat som er konfigurert for oral administrering i en dose på 260 mg eller 130 mg, en farmasøytisk akseptabel doseringsform som omfatter rekombinant humane syre α -glukosidase (rhGAA) -molekyler som er konfigurert for intravenøs administrering i en dose på 5 mg/kg til 20 mg/kg, og instruksjoner for administrering av den farmasøytisk akseptable doseringsformen som omfatter miglustat, og den farmasøytisk akseptable doseringsformen som omfatter rhGAA-molekyler til en pasient som har behov for det; hvor rhGAA-molekylene er produsert i kinesiske-hamster-ovarieceller (CHO), hvor rhGAA-molekylene omfatter syv potensielle N-glykosyleringssteder, og hvor i det minste 50% av rhGAA-molekylene har en bis-mannose-6-fosfat (bis-M6P) -enhet ved det første potensielle N-glykosyleringsstedet.

11. Settet ifølge krav 10, hvor instruksjonene omfatter instruksjoner for administrering av den farmasøytisk akseptable doseringsformen som omfatter rhGAA-molekyler i en dose på 20 mg/kg ved intravenøs infusjon over omtrent fire timer hver 2. uke, hvor instruksjonene omfatter instruksjoner for administrering av en farmasøytisk akseptabel doseringsform som omfatter rhGAA-molekyler en time etter den orale administreringen av den farmasøytisk akseptable doseringsformen som omfatter miglustat, og hvor instruksjonene videre omfatter instruksjoner at pasienten faster i det minste to timer før og i det minste to timer etter den orale administreringen av den farmasøytisk akseptable doseringsformen som omfatter miglustat.