



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3416631 B1

NORWAY

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

Norwegian Industrial Property Office

(21)	Translation Published	2019.09.09
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2019.05.15
(86)	European Application Nr.	17767934.7
(86)	European Filing Date	2017.08.11
(87)	The European Application's Publication Date	2018.12.26
(30)	Priority	2016.08.11, GB, 201613829 2017.02.16, GB, 201702551 2017.04.10, GB, 201705766 2017.04.28, GB, 201706867
(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 **THERAPEUTIC AGENTS FOR NEURODEGENERATIVE DISEASES**

(56) References
Cited: WO-A1-2011/151685
ROMAN SCHNIEPP ET AL: "Acetyl-DL-leucine improves gait variability in patients with
cerebellar ataxia-a case series", CEREBELLUM & ATAXIAS, vol. 3, 12 April 2016 (2016-04-12),
page 8, XP55390569, DOI: 10.1186/s40673-016-0046-2
TATIANA BREMOVA ET AL: "Acetyl-DL-leucine in Niemann-Pick type C: A case series",
NEUROLOGY, vol. 85, no. 16, 20 October 2015 (2015-10-20), pages 1368-1375, XP55390576,
US ISSN: 0028-3878, DOI: 10.1212/WNL.0000000000002041

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. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ved
5 behandling av en neurodegenerativ sykdom eller ett eller flere symptomer forbundet med en neurodegenerativ sykdom hos et individ som har behov derfor, hvor den neurodegenerative sykdom er valgt fra Alzheimers sykdom, ALS, MSA-P, MSA-C, frontotemporal demens med parkinsonisme, progressiv supranukleær parese, kortikobasal degenerasjon, cerebellar downbeat nystagmus, Lewy legeme demens og
10 ataxia telangiectasia (Louis Barr sykdom), og hvor acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, administreres i det minste to ganger daglig for å oppnå en total daglig dose fra omtrent 0,5 g til omtrent 15 g.
2. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge
15 krav 1, hvor individet er asymptomatisk.
3. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 2, hvor individet har blitt funnet til å ha en genetisk og/eller biokjemisk markør for den neurodegenerative sykdom.
20
4. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 1 for å forsinke starten på en neurodegenerativ sykdom eller ett eller flere symptomer på en neurodegenerativ sykdom som ellers ville forventes å manifestere i henhold til typisk sykdomsprogresjon.
25
5. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 1, hvor anvendelsen omfatter administrering av en terapeutisk effektiv mengde av acetyl-leucin til individet men behov for dette i en tidsperiode valgt fra minst omtrent 3 måneder, minst omtrent 6 måneder, minst omtrent 1 år, minst omtrent 2
30 år og minst omtrent 5 år.
6. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav for anvendelse ifølge krav 1 for å forsinke progresjon av en neurodegenerativ sykdom eller en eller flere symptomer forbundet med en neurodegenerativ sykdom over tid i forhold til typisk sykdomsprogresjon, hvor anvendelsen omfatter administrering av en terapeutisk
35 effektiv mengde av acetyl-leucin til individet med behov for dette i en tidsperiode valgt fra minst omtrent 3 måneder, minst omtrent 6 måneder, minst omtrent 1 år, minst

omtrent 2 år og minst omtrent 5 år.

5 7. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav for anvendelse ifølge krav 1 for å reversere progresjon av en neurodegenerativ sykdom eller ett eller flere symptomer assosiert med en neurodegenerativ sykdom over tid, hvor anvendelsen omfatter administrering av en terapeutisk effektiv mengde av acetyl- leucin til individet med behov for dette i en tidsperiode valgt fra minst omtrent 3 måneder, minst omtrent 6 måneder, minst omtrent 1 år, minst omtrent 2 år og minst omtrent 5 år.

10

8. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 1, for å forbedre en biokjemisk markør for en neurodegenerativ sykdom over tid i et individ som har behov for dette, hvor anvendelsen omfatter administrering av en terapeutisk effektiv mengde av acetyl-leucin til individet med er behov for dette i en tidsperiode valgt fra minst omtrent 3 måneder, minst omtrent 6 måneder, minst 15 omtrent 1 år, minst omtrent 2 år og minst omtrent 5 år.

20

9. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 8, hvor den biokjemiske markøren er økt lysosomalt volum.

25

10. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-9, hvor anvendelsen omfatter initiering av administrering av en terapeutisk effektiv mengde av acetyl-leucin til individet med behov for dette når individet er asymptomatisk.

30

11. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 10, hvor den første administrering oppstår etter at individet har blitt funnet å ha en genetisk og/eller biokjemisk markør for den neurodegenerative sykdommen.

35

12. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-4, hvor anvendelsen omfatter administrering av en terapeutisk effektiv mengde av acetyl-leucin til individet med behov for dette i en tidsperiode som er valgt fra minst omtrent 3 måneder, minst omtrent 6 måneder, minst omtrent 1 år, minst omtrent 2 år, og minst omtrent 5 år.

13. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-12, hvor acetyl-leucin er acetyl-DL-leucin.

14. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-12, hvor acetyl-leucin har et enantiomerisk overskudd av L-enantiomeren eller D-enantiomeren.

15. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-4, hvor anvendelsen omfatter administrering av acetyl-leucin til individet med behov for dette, i en terapeutisk effektiv mengde fra omtrent 0,5 g til omtrent 15 g pr. dag, fra omtrent 1 g til omtrent 10 g pr. dag, fra omtrent 1,5 g til omtrent 7 g pr. dag, fra omtrent 4 g til omtrent 6 g pr. dag, eller fra omtrent 4 g til omtrent 5 g pr. dag.

16. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 5-12, hvor den terapeutisk effektive mengde acetyl-leucin er fra omtrent 0,5 g til omtrent 15 g pr. dag, fra omtrent 1 g til omtrent 10 g pr. dag, fra omtrent 1,5 g til omtrent 7 g pr. dag, fra omtrent 4 g til omtrent 6 g pr. dag, eller fra omtrent 4 g til omtrent 5 g pr. dag.

17. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav for anvendelse ifølge krav 1 for å redusere alvorlighetsgraden av en neurodegenerativ sykdom eller redusere alvorligheten av eller eliminere ett eller flere eksisterende symptomer forbundet med en neurodegenerativ sykdom hos et individ som har behov for dette.

18. Acetyl-leucin eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 1, for å gi neurobeskyttelse i et individ som er mistenkt for å ha eller som har en risiko for å ha en neurodegenerativ sykdom, hvor anvendelsen omfatter administrering av en terapeutisk effektiv mengde av acetylen-leucin til individet i en periode valgt fra minst omtrent 3 måneder, minst omtrent 6 måneder, minst omtrent 1 år, minst omtrent 2 år og minst omtrent 5 år.