



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3482754 B1

NORWAY

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

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.03.08
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2020.12.23
(86)	European Application Nr.	18210763.1
(86)	European Filing Date	2017.08.11
(87)	The European Application's Publication Date	2019.05.15
(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
(62)	Divided application	EP3359146, 2017.08.11
(73)	Proprietor	IntraBio Ltd, Summit House 170 Finchley Road, London NW3 6BP, Storbritannia
(72)	Inventor	STRUPP, Michael, Ludwig-Maximilians-University Hospital Munich, c/oThe Department of Neurology and German CenterCampus 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 WO-A1-2006/097527 FR-A1- 2 905 600 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 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, XP055418262, US ISSN: 1525-0016, DOI: 10.1038/mt.2014.224

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 Niemann-Pick type C sykdom eller ett eller flere symptomer assosiert med Niemann-Pick type C sykdom hos et individ med behov derav, hvor anvendelsen
5 omfatter å administrere en terapeutisk effektiv mengde av acetylleucin til individet med behov derav over en tidsperiode valgt fra minst ca. 6 måneder, minst ca. 1 år, minst ca. 2 år, og minst ca. 5 år.
2. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav
10 1 for å forsinke progresjon av Niemann-Pick type C sykdom eller ett eller flere symptomer assosiert med Niemann-Pick type C sykdom over tid sammenlignet med typisk sykdomsprogresjon, hvor anvendelsen omfatter å administrere en terapeutisk effektiv mengde av acetylleucin til individet med behov derav over en tidsperiode valgt fra minst ca. 6 måneder, minst ca. 1 år, minst ca. 2 år, og minst ca. 5 år.
- 15 3. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 1 for å reversere progresjon av Niemann-Pick type C sykdom eller ett eller flere symptomer assosiert med Niemann-Pick type C sykdom over tid, hvor anvendelsen omfatter å administrere en terapeutisk effektiv mengde av acetylleucin til individet
20 med behov derav over en tidsperiode valgt fra minst ca. 6 måneder, minst ca. 1 år, minst ca. 2 år, og minst ca. 5 år.
4. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav
25 1 for å forbedre hos et individ med behov derav en biokjemisk markør av Niemann-Pick type C sykdom over tid, hvor anvendelsen omfatter å administrere en terapeutisk effektiv mengde av acetylleucin til individet med behov derav over en tidsperiode valgt fra minst ca. 6 måneder, minst ca. 1 år, minst ca. 2 år, og minst ca. 5 år.
5. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav
30 4, hvor den biokjemiske markøren er økt lysosomalt volum.
6. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et
hvilket som helst av kravene 1-5, hvor fremgangsmåten omfatter å starte
administrasjon av en terapeutisk effektiv mengde acetylleucin til individet med behov
35 derav når individet er asymptomatisk.

7. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 6, hvor den første administrasjonen skjer etter at individet har blitt funnet å ha en genetisk og/eller biokjemisk markør for Niemann-Pick type C sykdom.
- 5 8. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-7, hvor acetylleucin er acetyl-DL-leucin.
9. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-7, hvor acetylleucin har et enantiomeroverskudd av L-enantiomeren eller D-enantiomeren.
- 10 10. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-7, hvor acetylleucin er i en enkelt enantiomerisk form av enten L-enantiomeren eller D-enantiomeren.
- 15 11. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge krav 10, hvor den enkelte enantiomeriske formen er L-enantiomeren.
12. Acetylleucin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-7, hvor den terapeutisk effektive mengden av acetylleucin er på fra ca. 1 g 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 ca. 4 g til ca. 6 g per dag, eller fra ca. 4 g til ca. 5 g per dag.
- 20