



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3562821 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
C07D 401/14 (2006.01)
A61K 31/4725 (2006.01)
A61P 3/00 (2006.01)
A61P 43/00 (2006.01)
C07D 217/22 (2006.01)
C07D 401/12 (2006.01)
C07D 405/12 (2006.01)
C07D 405/14 (2006.01)
C07D 417/14 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2021.05.03
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2020.12.02
(86)	European Application Nr.	17829043.3
(86)	European Filing Date	2017.12.27
(87)	The European Application's Publication Date	2019.11.06
(30)	Priority	2016.12.28, EP, 16382660
(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	Minoryx Therapeutics S.L., Av. Ernest Lluch 32, 08302 Mataró, Barcelona, Spania
(72)	Inventor	GARCÍA COLLAZO, Ana Maria, c/o MINORYX THERAPEUTICS S.L.Av. Ernest Lluch 32, 08302 Mataró (Barcelona), Spania MARTINELL PEDEMONTE, Marc, c/o MINORYX THERAPEUTICS S.L.Av. Ernest Lluch 32, 08302 Mataró (Barcelona), Spania CUBERO JORDÀ, Elena, c/o MINORYX THERAPEUTICS S.L.Av. Ernest Lluch 32, 08302 Mataró (Barcelona), Spania BARRIL ALONSO, Xavier, c/o MINORYX THERAPEUTICS S.L.Av. Ernest Lluch 32, 08302 Mataró (Barcelona), Spania RODRIGUEZ PASCAU, Laura Pilar, c/o MINORYX THERAPEUTICS S.L.Av. Ernest Lluch 32, 08302 Mataró (Barcelona), Spania
(74)	Agent or Attorney	ZACCO NORWAY AS, Postboks 488, 0213 OSLO, Norge

(54)	Title	ISOQUINOLINE COMPOUNDS, METHODS FOR THEIR PREPARATION, AND THERAPEUTIC USES THEREOF IN CONDITIONS ASSOCIATED WITH THE ALTERATION OF THE ACTIVITY OF BETA GALACTOSIDASE
------	-------	---

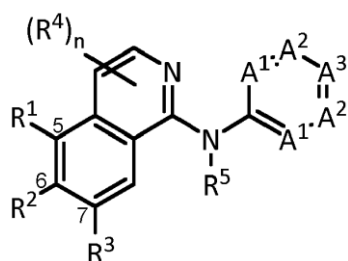
(56) References

Cited: WO-A1-2016/120808
WO-A1-2015/014900

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/>

EP3562821

1

Patentkrav**1. Forbindelse med formel (I):**

5 (I),

eller et salt eller solvat derav,

hvor:

hver av A¹ er uavhengig valgt fra gruppen bestående av nitrogen og CH; og10 hver av A² og A³ hver uavhengig er valgt fra gruppen bestående av nitrogen, CH og C(R⁶); hvorihver A¹ er CH og hver av A² og A³ er uavhengig valgt fra CH og C(R⁶), forutsatt at kun én av A² og A³ er C(R⁶); ellernøyaktig én av A² og A³ er C(R⁶) og ikke mindre enn én eller ikke mindre enn to av A¹, A² og A³ er nitrogen;15 R¹, R² og R³ er hver uavhengig valgt fra gruppen bestående av hydrogen, halogen, -CN, -OR^b og -C₁₋₄-alkyl, hvori -C₁₋₄-alkylgruppen eventuelt er substituert av 1, 2 eller 3 uavhengig valgte halogenatomer, med forbehold om at minst én R¹, R² og R³ er annet enn hydrogen;R⁶ er -B-NH-R⁷;20 B er -CO- eller -SO₂-;hver R⁴ er uavhengig valgt fra gruppen bestående av halogen, -C₁₋₄-alkyl, -C₁₋₄-alkoksy, -CN og hydroksey;

n har en verdi valgt fra 0, 1 eller 2;

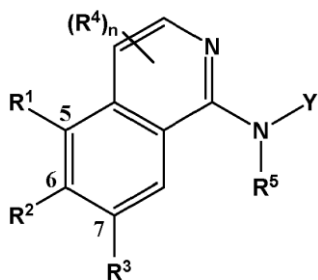
R⁵ er hydrogen eller -C₁₋₄-alkyl;25 R⁷ er valgt fra gruppen bestående av -C₁₋₄-alkyl, -C₃₋₁₀-sykloalkyl, -C₁₋₄-alkyl-C₃₋₁₀-sykloalkyl, -C₆₋₁₀-aryl, -C₁₋₄-alkyl-C₆₋₁₀-aryl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl, -C₁₋₄-alkyl-(5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl og -C₁₋₄-alkyl-(5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl; der alkyl-, sykloalkyl-,

EP3562821

2

alkylsykloalkyl-, aryl-, alkylaryl-, heteroaryl-, alkylheteroaryl-, heterosyklyl- og alkylheterosyklylgruppene eventuelt er substituert med 1, 2 eller 3 grupper uavhengig valgt fra gruppen bestående av halogen, hydroksy, -CN, -ORb, -SRb, -N(Rb)₂, -C₁₋₄alkyl eventuelt substituert med 1, 2 eller 3 halogenatomer, eventuelt substituert C₆₋₁₀-aryl, eventuelt substituert (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl og (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl; der sykloalkylet, alkylsykloalkylet, arylet, alkylarylet, heteroarylet, alkylheteroarylet, heterosykylet og alkylheterosykylet eventuelt er smeltet på en ytterligere (andre) ring, og hver Rb uavhengig er hydrogen, -C₁₋₄-alkyl eller -C₃₋₁₀-sykloalkyl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl; der alkyl-, sykloalkyl- eller heterosyklylgruppene eventuelt er substituert med 1, 2 eller 3 fluoratomer.

2. Forbindelsen ifølge krav 1 med formelen (IA):



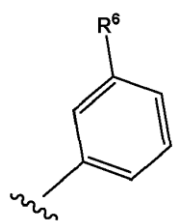
(IA)

eller et salt eller solvat derav, hvori:

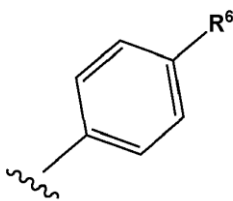
R¹, R², R³, R⁴ og R⁵ er som definert i krav 1, med forbehold om at minst én R¹, R² og R³ er annet enn hydrogen;

n er 0 eller 1, og

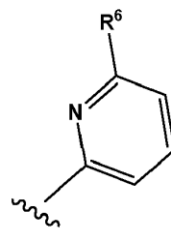
Y er valgt fra gruppen bestående av



Y1,



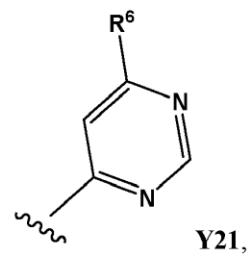
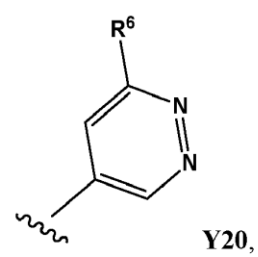
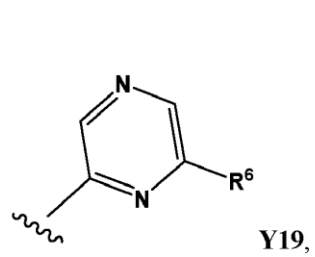
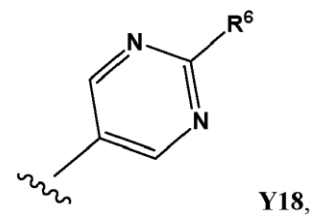
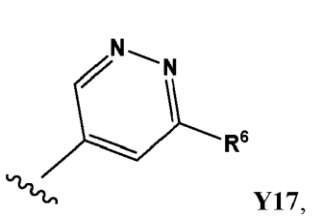
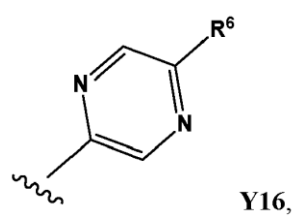
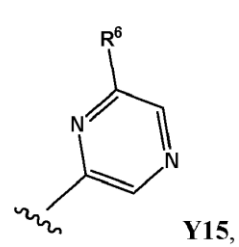
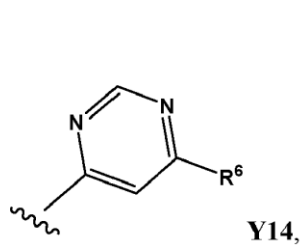
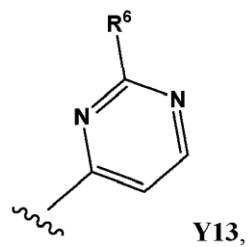
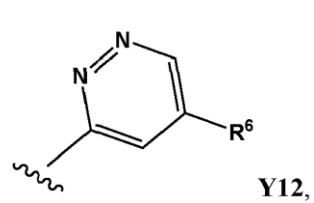
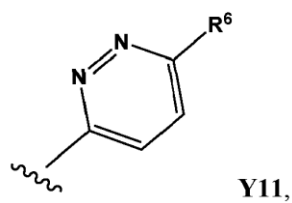
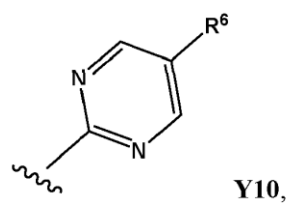
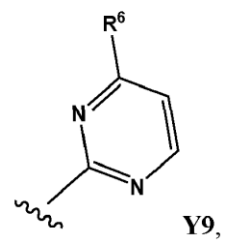
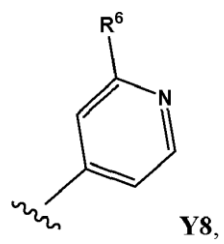
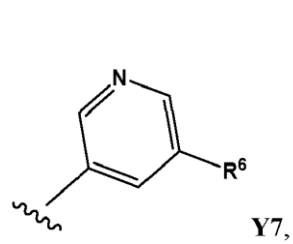
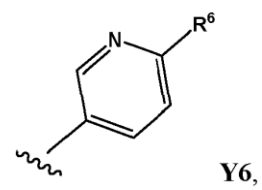
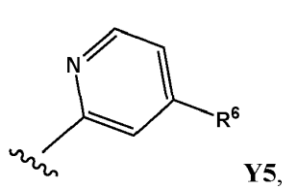
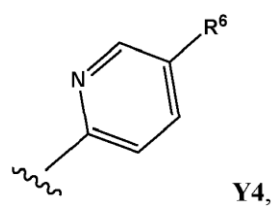
Y2,



Y3,

EP3562821

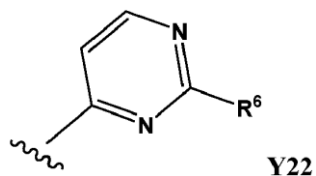
3



og

EP3562821

4



hvor R^6 er som definert i krav 1.

5

3. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 1 eller 2, hvor R^3 er valgt fra gruppen bestående av halogen, -CN og -ORb; og mer foretrukket R^3 er valgt fra gruppen bestående av -Cl, -CN og -OCH₃.

10

4. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 2 eller 3, hvor Y er valgt fra gruppen bestående av **Y1** og **Y2**.

5. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 2 eller 3, hvor Y er valgt fra gruppen bestående av **Y3, Y4, Y5, Y6, Y7** og **Y8**.

15

6. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 2 eller 3, hvor Y er valgt fra gruppen bestående av **Y9, Y10, Y11, Y12, Y13, Y14, Y15, Y16, Y17, Y18, Y19, Y20, Y21** og **Y22**.

20

7. Forbindelse ifølge et hvilket som helst av kravene 2-3 og 5, hvor Y er valgt fra gruppen bestående av **Y3** og **Y8** eller Y er valgt fra gruppen bestående av **Y4** og **Y6**.

8. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 1-7, hvor B er -CO-.

25

9. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 1-7, hvor B er -SO₂-.

10. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 1-9, hvor R^7 er valgt fra gruppen bestående av -C₁₋₄-alkyl, -C₃₋₁₀-sykloalkyl, -C₁₋₄-alkyl-C₃₋₁₀-sykloalkyl, -C₆₋₁₀-aryl, -C₁₋₄-alkyl-C₆₋₁₀-aryl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl, -C₁₋₄-alkyl-(5- til

30

10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl og -C₁₋₄-alkyl-(5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl,

hvor i der alkyl-, sykloalkyl-, alkylsykloalkyl-, aryl-, alkylaryl-, heteroaryl-, alkylheteroaryl-, heterosyklyl- og alkylheterosyklylgruppene er substituert med 1, 2 eller 3 grupper uavhengig valgt fra gruppen bestående av halogen, hydroksy, -CN, -OR_b, -SR_b, -N(R_b)₂, -C₁₋₄-alkyl eventuelt substituert med 1, 2 eller 3 halogenatomer, eventuelt substituert -C₆₋₁₀-aryl, eventuelt substituert (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl og (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl; der sykloalkylet, alkylsykloalkylet, arylet, alkylarylet, heteroarylet, alkylheteroarylet, heterosyklylet og alkylheterosyklylet eventuelt er smeltet på en ytterligere (andre) ring.

11. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 1-10, hvor i R⁷ er -C₁₋₄-alkyl,

hvor i alkylet er substituert med 1, 2 eller 3 grupper hver uavhengig valgt fra gruppen bestående av halogen, hydroksy, -CN, -OR_b, -SR_b, -N(R_b)₂, -C₁₋₄-alkyl eventuelt substituert med 1, 2 eller 3 halogenatomer, eventuelt substituert -C₆₋₁₀-aryl, eventuelt substituert (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl og (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl; der sykloalkylet, alkylsykloalkylet, arylet, alkylarylet, heteroarylet, alkylheteroarylet, heterosyklylet og alkylheterosyklylet eventuelt er smeltet på en ytterligere (andre) ring.

12. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 1-10, hvor i R⁷ er valgt fra gruppen bestående av -C₃₋₁₀-sykloalkyl, -C₁₋₄-alkyl-C₃₋₁₀-sykloalkyl, -C₆₋₁₀-aryl, -C₁₋₄-alkyl-C₆₋₁₀-aryl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl, -C₁₋₄-alkyl-(5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl og -C₁₋₄-alkyl-(5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl, hvor i sykloalkylet, alkylsykloalkylet, arylet, alkylarylet, heteroarylet, alkylheteroarylet, heterosyklylet og alkylheterosyklylet er smeltet på en ytterligere (andre) ring.

13. Forbindelsen ifølge et hvilket som helst av kravene 1-12, hvor i R⁷ er valgt fra gruppen bestående av -C₁₋₄-alkyl, -C₃₋₁₀-sykloalkyl, -C₁₋₄-alkyl-C₃₋₁₀-sykloalkyl, -C₆₋₁₀-aryl, -C₁₋₄-alkyl-C₆₋₁₀-aryl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl, -C₁₋₄-alkyl-(5-

EP3562821

6

til 10-leddet)-C₁₋₉-heteroaryl, (5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl og -C₁₋₄-alkyl-(5- til 10-leddet)-C₁₋₉-heterosyklyl.

14. Forbindelsen ifølge krav 1 valgt fra gruppen bestående av:

- 5 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1-metyl-1H-benzo[*d*][1,2,3]triazol-5-yl)benzamid;
- 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-morfolin-2-(pyridin-2-yl)etyl)benzamid;
- 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)metyl)benzamid;
- 10 *N*-benzyl-3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)benzamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)metyl)benzamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-(pyridin-3-yl)-2-(pyrrolidin-1-yl)etyl)benzamid;
- 15 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-(pyridin-3-yl)-2-(pyrrolidin-1-yl)etyl)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)metyl)pikolinamid;
- N*-benzyl-4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 20 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(4-metoksybenzyl)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(3-metoksybenzyl)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(3,4-dimetoksybenzyl)pikolinamid;
- N*-(benzo[*c*][1,2,5]tiadiazol-5-ylmetyl)-4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 25 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((3,4-dihydro-2H-benzo[*b*][1,4]dioksepin-7-yl)metyl)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzofuran-5-yl)metyl)pikolinamid;
- 30 *N*-(benzo[*d*][1,3]dioksol-5-ylmetyl)-4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-(2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)etyl)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(kroman-6-ylmetyl)pikolinamid;

EP3562821

7

- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)metyl)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-2-yl)metyl)pikolinamid;
- 5 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(pyridin-3-ylmetyl)pikolinamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(pyridin-4-ylmetyl)pikolinamid;
- 4-((7-metoksisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-(pyridin-3-yl)-2-(pyrrolidin-1-yl)etyl)pikolinamid;
- 10 *N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)metyl)-4-((7-metoksisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- N*-benzyl-4-((7-metoksisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-(pyridin-3-yl)-2-(pyrrolidin-1-yl)etyl)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)metyl)pikolinamid;
- 15 *N*-benzyl-5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(4-metoksybenzyl)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(3-metoksybenzyl)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(3,4-dimetoksybenzyl)pikolinamid;
- 20 *N*-(benzo[*c*][1,2,5]tiadiazol-5-ylmetyl)-5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((3,4-dihydro-2H-benzo[*b*][1,4]dioksepin-7-yl)metyl)pikolinamid;
- 25 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzofuran-5-yl)metyl)pikolinamid;
- N*-(benzo[*d*][1,3]dioksol-5-ylmetyl)-5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-(2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)etyl)pikolinamid;
- 30 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(kroman-6-ylmetyl)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(6-metoksy-1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)metyl)pikolinamid;

- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-2-yl)metyl)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(pyridin-3-ylmetyl)pikolinamid;
- 5-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(pyridin-4-ylmetyl)pikolinamid;
- 5 5-((7-metoksisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)pikolinamid;
- N*-(6-metoksy-1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)-5-((7-metoksisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 10 5-((7-metoksisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)metyl)pikolinamid;
- 5-((7-cyanoisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)pikolinamid;
- 5-((7-cyanoisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(pyridin-3-ylmetyl)pikolinamid;
- 15 *N*-(benzo[*c*][1,2,5]tiadiazol-5-ylmetyl)-5-((7-cyanoisokinolin-1-yl)amino)pikolinamid;
- 5-((5-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)pikolinamid;
- 5-((5-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzofuran-5-yl)metyl)pikolinamid;
- 6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-(pyridin-3-yl)-2-(pyrrolidin-1-yl)etyl)nikotinamid;
- 20 6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)metyl)nikotinamid;
- N*-benzyl-6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)nikotinamid;
- 6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(4-metoksybenzyl)nikotinamid;
- 25 6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(3-metoksybenzyl)nikotinamid;
- 6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(3,4-dimetoksybenzyl)nikotinamid;
- N*-(benzo[*c*][1,2,5]tiadiazol-5-ylmetyl)-6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)nikotinamid;
- 6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)nikotinamid;
- 30 6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((3,4-dihydro-2H-benzo[*b*][1,4]dioksepin-7-yl)metyl)nikotinamid;
- N*-(benzo[*d*][1,3]dioksol-5-ylmetyl)-6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)nikotinamid;
- 6-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(kroman-6-ylmetyl)nikotinamid;
- 5-((7-metoksisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(pyridin-3-ylmetyl)pikolinamid;

- 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-(pyridin-3-yl)-2-(pyrrolidin-1-yl)etyl)benzensulfonamid;
- 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-morfolin-2-(pyridin-2-yl)etyl)benzensulfonamid;
- 5 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1-metyl-1H-benzo[*d*][1,2,3]triazol-4-yl)benzensulfonamid;
- N*-benzyl-3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)benzensulfonamid;
- 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)metyl)benzensulfonamid;
- 10 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)benzensulfonamid;
- 3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((1-metyl-1H-benzo[*d*][1,2,3]triazol-5-yl)metyl)benzensulfonamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(2-morfolin-2-(pyridin-2-yl)etyl)benzensulfonamid;
- 15 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1-metyl-1H-benzo[*d*][1,2,3]triazol-4-yl)benzensulfonamid;
- N*-(benzo[*c*][1,2,5]tiadiazol-5-ylmetyl)-3-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)benzensulfonamid;
- 20 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-6-yl)metyl)benzensulfonamid;
- N*-(benzo[*c*][1,2,5]tiadiazol-5-ylmetyl)-4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)benzensulfonamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-(1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)benzensulfonamid;
- 25 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((1,2,3,4-tetrahydronaftalen-2-yl)metyl)benzensulfonamid;
- 4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)-*N*-((2,3-dihydrobenzo[*b*][1,4]dioksin-2-yl)metyl)benzensulfonamid; og
- 30 *N*-benzyl-4-((7-klorisokinolin-1-yl)amino)benzensulfonamid;
- eller et salt eller solvat derav.

15. Farmasøytisk sammensetning omfattende en forbindelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-14 eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller solvat derav og minst én farmasøytisk akseptabel eksipient.

5 **16.** Forbindelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-14 eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller solvat derav, for anvendelse i forebyggingen eller behandlingen av en tilstand assosiert med endringen av aktiviteten til GLB1.

10 **17.** Forbindelsen for anvendelse ifølge krav 16, hvori tilstanden assosiert med endringen av aktiviteten til GLB1 er valgt fra gruppen bestående av GM1-gangliosider og Morquio-syndrom type B.

15 **18.** Forbindelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-14 eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller solvat derav, for anvendelse i økning av β -galaktosidase-aktivitet i en pasient med behov for dette.

20 **19.** Farmasøytisk sammensetning omfattende en forbindelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1-14 eller et farmasøytisk akseptabelt salt eller solvat derav, for anvendelse i forebygging eller behandling av en tilstand assosiert med endringen av aktiviteten til GLB1.

25 **20.** Den farmasøytiske sammensetningen for anvendelse ifølge krav 19, hvori tilstanden assosiert med endringen av aktiviteten til GLB1, er valgt fra gruppen bestående av GM1-gangliosider og Morquio-syndrom type B.

21. Forbindelsen for anvendelse ifølge krav 17, hvori pasienten også administreres en effektiv mengde enzym for enzymerstatningsterapi; og der foretrukket enzymet er β -galaktosidase eller en analog derav.

30 **22.** Forbindelsen for anvendelse ifølge krav 17 eller 21, hvori pasienten også administreres et lite molekylchaperon; og der foretrukket det lille molekylchaperonet binder i konkurranse med et enzym; og mer foretrukket det lille molekylchaperonet er valgt fra gruppen bestående av iminoalдитoler, iminosukkerer, aminosukkerer, tiofenylglykosider, glykosidase, sulfatase,

EP3562821

11

glykosyltransferase, fosfatase og peptidasehemmere; og mer foretrukket det lille molekylchaperonet er valgt fra gruppen bestående av 1-deoksygalaktonojirimycin (DGJ), N-nonyldeoksyojirimycin (NN-DNJ), N-butyldeoksygalaktonojirimycin (NB-DGJ), galaktose, fluoriminoalditol og epi-isofagomin.